MYOZYME® (ALGLUKOZYDAZA ALFA) W LECZENIU PÓŹNEJ POSTACI CHOROBY POMPEGO

ANALIZA RACJONALIZACYJNA

Wersja 1.0

Wykonawca:
MAHTA Sp. z o.o.
ul. Rejtana 17/5
02 - 516 Warszawa
Tel. 022 542 41 54
E-mail: biuro@mahta.pl

Autorzy:
[redacted]

Warszawa, 21 grudnia 2012

Autorzy	Wykonywane zadania
[redacted]	• Opracowanie koncepcji analizy • Gromadzenie i opracowanie danych • Opracowanie wyników • Wnioski końcowe

[redacted]

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy Genzyme Polska Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesu.

Spis treści

Indeks skrótów **4**

Streszczenie **5**

1. Cel analizy **7**

2. Metodyka **7**

3. Wyniki analizy wpływu na budżet dla alglukozydazy alfa **11**

4. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego . **12**

4.1. Scenariusze porównywane 17

4.2. Parametry uwzględnione 19

[redacted] 19

[redacted] 40

4.3. Założenia 44

[redacted] 45

[redacted] 46

Scenariusz „nowy" 49

Inkrementalny wynik analizy racjonalizacyjnej 52

5. Posumowanie i wnioski **56**

6. Spis tabel **58**

7. Bibliografia **59**

Indeks skrótów

Skrót	Objaśnienie
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]

Streszczenie

CEL

Analiza racjonalizacyjna ma na celu wskazanie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikających z analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych dla alglukozydazy alfa (produkt Myozyme®), stosowanej w leczeniu późnej postaci choroby Pompego.

METODYKA

[redacted]

WYNIKI I WNIOSKI

[redacted]

[redacted]

Analiza racjonalizacyjna wykazała zatem, że oszczędności [redacted] będą pokrywały wydatki płatnika publicznego związane z refundacją leku Myozyme® w omawianym wskazaniu oraz wygenerują dodatkowe oszczędności dla podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

1. Cel analizy

Analiza racjonalizacyjna ma na celu wskazanie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikających z analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych dla alglukozydazy alfa (produkt Myozyme®), stosowanej w leczeniu późnej postaci choroby Pompego (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 – NFZ lub właściwi ministrowie) [41].

2. Metodyka

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

3. Wyniki analizy wpływu na budżet dla alglukozydazy alfa

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia – Myozyme® (alglukozydaza alfa) w leczeniu późnej postaci choroby Pompego, wykazała, że w wyniku refundacji leku Myozyme® w analizowanym wskazaniu, koszty inkrementalne dla budżetu podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wzrosną w wariancie prawdopodobnym (minimalnym, maksymalnym) o ok. [redacted]

odpowiednio w pierwszym oraz drugim roku od rozpoczęcia finansowania leku Myozyme® [2]. Zatem rozwiązania, o których mowa w art. 25. pkt 14 lit. c tiret czwarte *Ustawy refundacyjnej* wskazywać powinny oszczędności pozwalające na pokrycie co najmniej tych kosztów [40].

Dokładne wartości przedstawia tabela poniżej.

Tabela 1.
Koszty inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego wynikające z refundacji leku Myozyme® w leczeniu późnej postaci choroby Pompego w Polsce w latach 2013-2014 (tys. PLN)

	2013	2014
Wariant minimalny	[redacted]	[redacted]
Wariant prawdopodobny	[redacted]	[redacted]
Wariant maksymalny	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne na podstawie [2]

4. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

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

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

4.1. Scenariusze porównywane

Scenariusz „istniejący" przedstawia sytuację obecną [redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

4.2. Parametry uwzględnione

[redacted]

Scenariusz „istniejący"

[redacted]

[redacted]

[redacted]

Tabela 3.

[redacted]

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

[redacted]

[redacted]

[redacted]

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

[redacted]

[redacted]

Scenariusz „nowy"

[redacted]

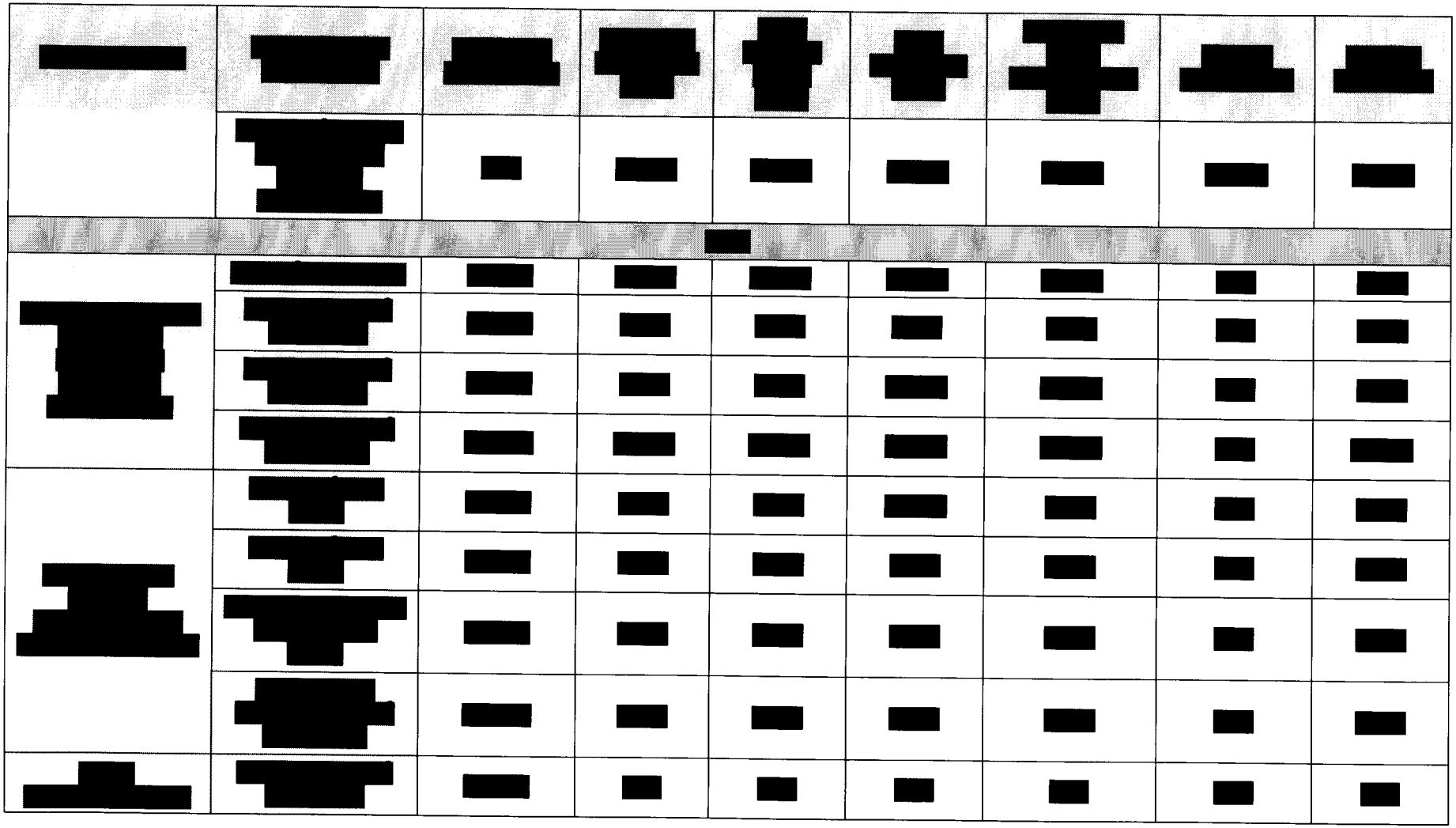
[redacted]

[redacted]

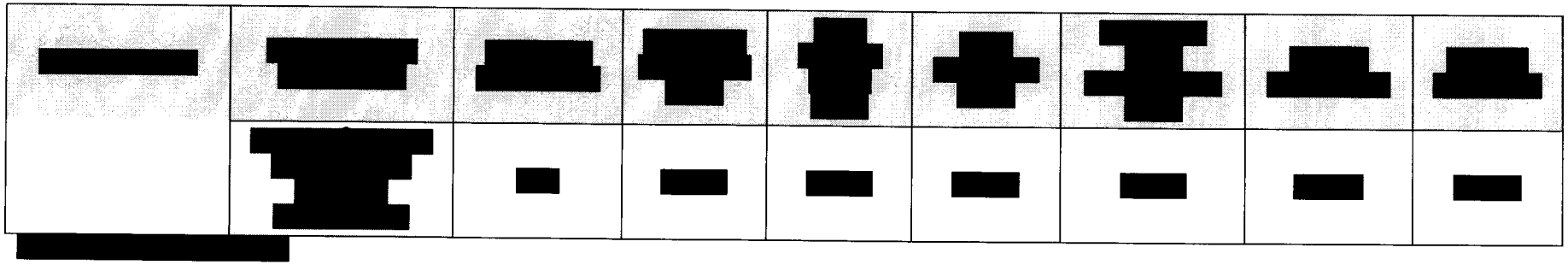
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]								
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]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

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

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



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



[redacted]

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

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

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

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

n/d – nie dotyczy
Źródło: opracowanie własne

4.3. Założenia

W wyniku prac nad niniejszą analizą przyjęto następujące założenia:

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

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

[redacted]

Scenariusz „nowy”

[redacted]

[redacted]

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

[redacted]

Inkrementalny wynik analizy racjonalizacyjnej

[redacted]

[redacted]

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

[redacted]

W analizie racjonalizacyjnej wpływu na budżet płatnika publicznego wykazano, że w wyniku realizacji scenariusza „nowego" zamiast scenariusza „istniejącego" wystąpią oszczędności w wariancie prawdopodobnym (minimalnym; maksymalnym) równe ok. [redacted] w 2014 roku.

Ze względu na wykazanie dodatkowych kosztów dla budżetu płatnika publicznego związanych z objęciem refundacją leku Myozyme® w omawianym wskazaniu, zgodnie z art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte *Ustawy refundacyjnej* [40] konieczne jest wskazanie rozwiązania, które spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi tych kosztów.

W poniższej tabeli przedstawiono podsumowanie wyników analizy racjonalizacyjnej oraz analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych dla leku Myozyme®.

Tabela 11.
Zebrane wyniki analizy racjonalizacyjnej i analizy wpływu na budżet dla leku Myozyme® w 2013 oraz 2014 roku (PLN)

	2013	2014
	Wyniki analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych dla leku Myozyme®	
Wariant minimalny	[redacted]	[redacted]
Wariant prawdopodobny	[redacted]	[redacted]
Wariant maksymalny	[redacted]	[redacted]
	Wyniki analizy racjonalizacyjnej	
Wariant minimalny	[redacted]	[redacted]
Wariant prawdopodobny	[redacted]	[redacted]
Wariant maksymalny	[redacted]	[redacted]

Ujemne wartości oznaczają oszczędności
Źródło: opracowanie własne

W wyniku zakwalifikowania produktu leczniczego Myozyme® do leczenia późnej postaci choroby Pompego w ramach *Programu lekowego* oraz [redacted] (zaproponowanego w niniejszej analizie racjonalizacyjnej), płatnik publiczny zaoszczędzi ok [redacted] (w przypadku jednoczesnego zajścia wariantów prawdopodobnych).

[redacted]

5. Posumowanie i wnioski

[redacted]

[redacted]

6. Spis tabel

[redacted]

7. Bibliografia

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]