

MYOZYME[®] (ALGLUKOZYDAZA ALFA) W LECZENIU PÓŻNEJ POSTACI CHOROBY POMPEGO

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

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:



Warszawa, 20 grudnia 2012 r.

Autorzy	Wykonywane zadania
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none">•Koncepcja analizy;•Kontrola jakości•Opracowanie wyników•Ocena kosztów•Zdefiniowanie populacji
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none">•Aspekt etyczne i społeczne;•Wnioski i dyskusja

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Konflikt interesów:

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

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	4
Streszczenie	5
1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia	8
2. Analiza wpływu na budżet	8
2.1. Horyzont czasowy	8
2.2. Populacja.....	9
2.3. Perspektywa.....	12
2.4. Scenariusze porównywane.....	13
2.5. Parametry uwzględniane	15
[redacted]	16
[redacted]	17
[redacted]	18
[redacted]	19
[redacted]	19
2.6. Wydatki budżetowe	20
2.6.1. Scenariusz „istniejący”	21
2.6.2. Scenariusz „nowy”	22
2.6.3. Wyniki analizy wpływu na budżet.....	23
[redacted]	24
4. Aspekty etyczne i społeczne	25
5. Podsumowanie i wnioski końcowe	26
[redacted]	28
[redacted]	29
[redacted]	30

Indeks skrótów

Skrót	Objaśnienie
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
b/d	brak danych
EKG	elektrokardiografia
ERT	ang. <i>enzyme replacement therapy</i> – enzymatyczna terapia zastępcza
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RTG	technika obrazowania wykorzystująca promieniowanie rentgenowskie
TPZ	terapeutyczny program zdrowotny
USG	ultrasonografia

Streszczenie

CEL

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest określenie wpływu na system opieki zdrowotnej w Polsce podjęcia decyzji o objęciu refundacją produktu leczniczego Myozyme® (αglukozydaza alfa), który będzie wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Pompego* (dalej nazywany *Programem lekowym*).

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 przeprowadzono 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 - NFZ lub właściwi ministrowie). Świadczeniobiorca (tj. pacjent) nie ponosi kosztów różniących oceniane technologie medyczne w analizowanym wskazaniu, w związku z czym w analizie nie rozważano perspektywy pacjenta. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący lata 2013-2014. Populację docelową dla αglukozydazy alfa stanowią chorzy z późną postacią choroby Pompego [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: „istniejący” oraz scenariusz „nowy” [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W scenariuszu „nowym” analizowano sytuację, w której αglukozydaza alfa w omawianym wskazaniu finansowana będzie z budżetu płatnika publicznego w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Pompego*. Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika publicznego, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.

[REDACTED]

WYNIKI

[REDACTED]

[REDACTED]

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

[REDACTED]

[Redacted text block]

1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest ocena wpływu na system opieki zdrowotnej w Polsce decyzji refundacyjnej dla produktu leczniczego Myozyme® (αglukozydaza alfa) w leczeniu późnej postaci choroby Pompego.

Obecnie αglukozydaza alfa nie jest refundowana w omawianym wskazaniu, poza przypadkami osób, które uzyskały prawo do leczenia za pomocą enzymatycznej terapii zastępczej w ramach uchylonego 20 stycznia 2010 roku *Terapeutycznego programu zdrowotnego (TPZ) leczenia choroby Pompego*. Wnioskowanym sposobem refundacji leku Myozyme® jest finansowanie go w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Pompego* (we wczesnej postaci choroby αglukozydaza alfa jest obecnie refundowana w tym *Programie*).

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

2. Analiza wpływu na budżet

2.1. Horyzont czasowy

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący lata 2013 oraz 2014, który jest zgodny z Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM) [1]. Czas ten odpowiada długości obowiązywania pierwszej pozytywnej decyzji refundacyjnej¹ [16] przy założeniu rozpoczęcia finansowania z początkiem 2013 roku. Zgodnie z *Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (zwana dalej *Ustawą refundacyjną*) [16], wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu netto leku rozpatrywany jest w terminie 180 dni, zaś uzgodnienie treści programu lekowego trwa do 60 dni². W związku z powyższym w analizie przyjęto, że

¹ Art. 11. ust. 3. pkt 3. *Ustawy refundacyjnej* [16]

² Art. 31. ust. 4. i 11. *Ustawy refundacyjnej* [16]

decyzja administracyjna o objęciu refundacją leku Myozyme® wydana zostanie nie później niż 30 grudnia 2012 roku.

2.2. Populacja

Populację badaną w analizie wpływu na budżet dla α-glukozydazy alfa, zgodnie z Wytycznymi AOTM, stanowią chorzy, u których oceniana technologia może być zastosowana [1]. Zgodnie z *Charakterystyką Produktu Leczniczego Myozyme®* [4], α-glukozydaza alfa jest wskazana w długotrwałej, enzymatycznej terapii zastępczej (ang. *enzyme replacement therapy* – ERT) u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Pompego (niedoborem kwaśnej α-glukozydazy). [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
[Redacted]	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
[Redacted]	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
[Redacted]	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

[Redacted text block]

[Redacted text block]

	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
[Redacted]	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
[Redacted]	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
[Redacted]	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

2.3.Perspektywa

[Redacted text block]

[Redacted text block]

2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: „istniejący” oraz scenariusz „nowy”. Scenariusz „istniejący” obrazuje sytuację obecną, w której produkt leczniczy Myozyme® nie jest refundowany w omawianym wskazaniu w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Pompego*.

[Redacted text block]

W scenariuszu „nowym” przyjęto sytuację, w której Myozyme® finansowany będzie w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Pompego*. Dla każdego ze scenariuszy przyjęto

3 możliwe warianty,

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

2.5. Parametry uwzględniane

Do czynników, które mają wpływ na wyniki analizy finansowej należą:

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[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 block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

2.6. Wydatki budżetowe

Na podstawie wielkości populacji docelowej, u której występuje późna postać choroby Pompego, a także różniących kosztów leczenia chorego, wyznaczono wydatki budżetowe płatnika publicznego, finansującego leczenie ERT w rozważanym wskazaniu w Polsce. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu [REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

2.6.1. Scenariusz „istniejący”

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

2.6.2. Scenariusz „nowy”

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

2.6.3. Wyniki analizy wpływu na budżet

Na podstawie kosztów różniących w scenariuszach „istniejącym” i „nowym” oraz wielkości populacji docelowej, wyznaczono wielkość kosztu inkrementalnego, związanego z podjęciem decyzji dotyczącej refundacji produktu leczniczego Myozyme® w leczeniu późnej postaci choroby Pompego. Wyniki przedstawiono w wariantach: minimalnym, prawdopodobnym i maksymalnym.

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[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. Aspekty etyczne i społeczne

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Myozyme® w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Pompego*, dotyczy wyłącznie chorych kwalifikujących się do programu, a zatem pacjentów spełniających wszystkie kryteria włączenia, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne. Jednocześnie, dotyczy ona wszystkich chorych z późną postacią choroby Pompego, co zapewnia właściwe leczenie i równy dostęp do terapii wszystkim cierpiącym na to rzadkie schorzenie [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Opisane powyżej efekty objęcia refundacją preparatu Myozyme® wpłynęły pozytywnie na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej. Nie przewiduje się bowiem braku akceptacji produktu leczniczego przez chorych ani dylematów etycznych lub moralnych, a może zmniejszać stygmatyzację społeczną.

Pozytywna decyzja dotycząca finansowania Myozyme® w ramach *Programu lekowego*, nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia.

5. Podsumowanie i wnioski końcowe

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block containing multiple paragraphs of information, all obscured by black bars.]

[Redacted]

[Redacted]

[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 block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]