

**TEMSYROLIMUS W LECZENIU
ZAAWANSOWANEGO RAKA
NERKOWOKOMÓRKOWEGO
U CHORYCH NIELECZONYCH O
NIEKORZYSTNYM ROKOWANIU**

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

Wersja 1.3



Warszawa, 16 kwietnia 2013

W dniu 16 kwietnia 2013 r. analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana w związku z uwagami zawartymi w Piśmie MZ-PLR-460-17712-11/JA/13 z dnia 10 kwietnia 2013 r.

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

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez Cezarego Prusko i Michała Jachimowicza.

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy Pfizer 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 wpływu na system ochrony zdrowia.....	9
2 Analiza wpływu na budżet.....	9
2.1 Horyzont czasowy	9
2.2 Populacja.....	10
2.3 Perspektywa	15
2.4 Scenariusze porównywane.....	16
2.5 Parametry uwzględniane	17
2.6 Podsumowanie danych wejściowych.....	22
2.7 Wydatki budżetowe	25
2.7.1 Aktualne wydatki.....	25
2.7.2 Perspektywa poszerzona.....	25
2.7.3 Perspektywa płatnika publicznego	28
2.8 Przedstawienie wyników.....	30
2.8.1 Perspektywa poszerzona.....	30
2.8.2 Perspektywa płatnika publicznego	34
3 Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej	37
4 Założenia i ograniczenia.....	38
5 Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.....	39
6 Aspekty etyczne i społeczne.....	39
7 Podsumowanie i wnioski końcowe	41
8 Spis tabel.....	44
9 Spis rysunków.....	47
10 Bibliografia	48

Indeks skrótów

Skrót	Objaśnienie
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
EAPC	ang. <i>European Association for Palliative Care</i> – Europejskie Stowarzyszenie Opieki Paliatywnej
FISH	ang. <i>fluorescent in situ hybridization</i> – fluorescencyjna hybrydyzacja in situ
HER2	ang. <i>Human Epidermal Growth Factor Receptor 2</i> – receptor ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu typu 2.
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RCC	ang. <i>renal cell carcinoma</i> – rak nerkowokomórkowy
RSS	Ang. <i>Risk Sharing Scheme</i> – instrumenty dzielenia ryzyka
SISH	ang. <i>silver in situ hybridization</i> – hybrydyzacja in situ z użyciem srebra
TRAS	trastuzumab

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 Torisel® (temsyrolimus) w opakowaniu zawierającym 1 fiolkę 30 mg koncentratu oraz rozcieńczalnik do sporządzania roztworu do infuzji, stosowanego w leczeniu zaawansowanego raka nerkowokomórkowego u chorych wcześniej nieleczonych farmakologicznie, o niekorzystnym rokowaniu. W analizie rozważono refundację produktu Torisel® w ramach *Programu lekowego - leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu*.

METODYKA

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy poszerzonej tj. perspektywy obejmującej łącznie wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (zgodnie z *Ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych* jest nim płatnik publiczny, czyli Narodowy Fundusz Zdrowia) oraz wydatki świadczeniobiorcy (pacjenta) współfinansujących leczenie raka nerkowokomórkowego w Polsce. Ze względu na minimalny udział świadczeniobiorcy w kosztach terapii, wyniki podane w perspektywie poszerzonej są bardzo bliskie tym które występują w perspektywie płatnika publicznego. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Populację badaną w analizie stanowią wszyscy chorzy z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym wcześniej nieleczeni o niekorzystnym rokowaniu. Wielkość tej populacji została oszacowana na podstawie rejestru Centrum Onkologii. Przy użyciu regresji oszacowano oczekiwaną liczbę noworozpoznanych chorych na raka nerkowokomórkowego w latach 2012-2015. W wyniku tej analizy wyznaczono wielkość populacji, która może zostać objęta leczeniem temsyrolimusem. Należy jednak zauważyć, że wyżej opisana populacja kwalifikująca się do leczenia temsyrolimusem, nie jest równoważna populacji rzeczywiście leczonej, która to populacja zależy od bardzo wielu czynników i w związku z tym jest trudna do

określenia. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie przyjęto dwa możliwe scenariusze: „istniejący” i „nowy”. Scenariusz „istniejący” zakłada, iż chorzy z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym wcześniej nieleczeni, o niekorzystnym rokowaniu będą leczeni zgodnie z obecną praktyką. Chorzy w analizowanym wskazaniu są dziś leczeni interferonem finansowanym w ramach *Wykazu leków stosowanych w ramach chemioterapii w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń oraz we wskazaniu określonym stanem klinicznym*. Scenariusz „nowy” zakłada wprowadzenie temsyrolimusu do *Programu lekowego - leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu*. Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 warianty: minimalny, prawdopodobny oraz maksymalny. Wariant prawdopodobny zakłada, iż liczba chorych kwalifikujących się do leczenia w analizowanym wskazaniu będzie się zmieniać zgodnie z trendem wielomianowym obserwowanym w latach 1999-2009. Warianty minimalny i maksymalny uzyskano poprzez przyjęcie w obliczeniach odpowiednio dolnej i górnej granicy przedziału ufności (95%) dla prognozy wykonanej w modelu regresji wielomianowej.

Parametry uwzględniane w analizie podzielone zostały na dwie grupy: związane z kosztami oraz wielkością populacji. Wartości kosztów przyjęto na podstawie modelowania wykonanego w *Analizie ekonomicznej*.

Na podstawie wyznaczonej populacji i kosztów dla każdego scenariusza i wariantu obliczono wydatki związane z leczeniem raka nerkowokomórkowego w populacji docelowej.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

WYNIKI

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

Finansowanie temsyrolimusu odbywać się będzie według reguł i w warunkach zbliżonych do innych, obecnie realizowanych, metod leczenia pacjentów z rakiem nerkowokomórkowym, a zatem nie wymaga ponoszenia dodatkowych istotnych nakładów związanych z funkcjonowaniem systemu opieki zdrowotnej.

Finansowanie preparatu temsyrolimusu w leczeniu pacjentów z zaawansowanym rakiem nerki wcześniej nieleczonych, o niekorzystnym rokowaniu, pomimo, że wiąże się ze wzrostem kosztów leczenia, zaowocuje wygenerowaniem korzyści istotnych zarówno z punktu widzenia leczonych, jak i ich rodzin oraz opiekunów, a także całego społeczeństwa.

1 Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem niniejszej analizy jest ocena wpływu na system opieki zdrowotnej w Polsce, podjęcia decyzji dotyczącej rozpoczęcia finansowania ze środków publicznych preparatu Torisel[®], stosowanego w leczeniu zaawansowanego raka nerkowokomórkowego u chorych wcześniej nieleczonych farmakologicznie, o niekorzystnym rokowaniu, w ramach *Programu lekowego - leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu*.

Dokument składa się z analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych, zestawienia aspektów etycznych i społecznych oraz analizy racjonalizacyjnej, którą wykonuje się w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

2 Analiza wpływu na budżet

2.1 Horyzont czasowy

Zgodnie z Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM) [1], w analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od lipca 2013 r. do czerwca 2015 r. Zgodnie z *Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (zwanej dalej *Ustawą refundacyjną*) [23], 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 dni. Horyzont czasowy przyjęty w analizie odpowiada więc długości obowiązywania pierwszej decyzji refundacyjnej przy założeniu, w oparciu o zapisy *Ustawy refundacyjnej*, rozpoczęcia finansowania w lipcu 2013 roku.

2.2 Populacja

Populację badaną w analizie stanowią wszyscy chorzy z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym (ang. *renal cell carcinoma*, RCC) wcześniej nieleczeni farmakologicznie, o niekorzystnym rokowaniu. Wielkość tej populacji została oszacowana na podstawie rejestru Centrum Onkologii [11].

Dane z rejestru Centrum Onkologii wskazują, że zapadalność na raka nerkowokomórkowego w latach 1999-2009 wzrosła z 3 520 osób w pierwszym roku do 4 599 osób w roku ostatnim. Zapadalność na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 1999-2009¹, uzyskaną na podstawie rejestru [11], przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 1.
Zapadalność na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 1999-2009

Rok	1999	2000	2001	2002	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009
Liczba nowozdiagnozowanych chorych	3 520	3 624	3 572	3 638	3 807	3 651	3 739	3 766	3 886	4 164	4 599

Źródło: opracowanie własne na podstawie rejestru Centrum Onkologii

Na podstawie tych danych wykonano dopasowanie modelu regresji. Z uwagi na obserwowany wzrost zachorowań w ostatnich latach wskazujący na nieliniowy trend, zdecydowano się włączyć w analizie krzywoliniowe modele regresji. Spośród modeli regresji liniowej, wykładniczej, potęgowej oraz wielomianowej (wielomian stopnia drugiego), wybrano model wielomianowy jako najlepszy model predykcji – przy uwzględnieniu współczynnika determinacji jako kryterium dopasowania modelu do danych historycznych. Współczynnik determinacji R^2 w modelu regresji wielomianowej wyniósł 0,87, co wskazuje na dobre dopasowanie modelu do danych. Warianty minimalny i maksymalny uzyskano poprzez przyjęcie w obliczeniach odpowiednio dolnej i górnej granicy przedziału ufności (95%) dla prognozy. W ten sposób prognozowaną, liczbę noworozpoznanych chorych na raka

¹ Najbardziej aktualne dostępne dane dotyczą roku 2009

nerkowokomórkowego w latach 2012-2015, przedstawiono w poniższej tabeli (Tabela 2.).

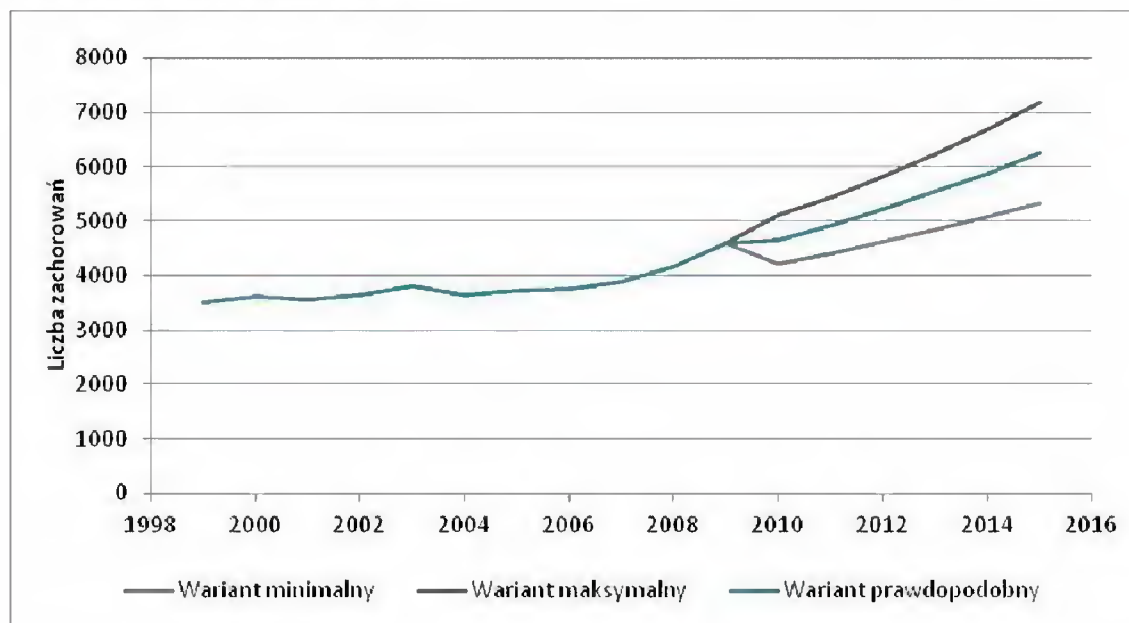
Tabela 2.
Prognozowana zapadalność na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 2012-2015

Liczba nowozdiagnozowanych chorych	2012	2013	2014	2015
Wariant minimalny	4 620	4 846	5 086	5 343
Wariant prawdopodobny	5 215	5 536	5 885	6 263
Wariant maksymalny	5 810	6 226	6 684	7 183

Źródło: opracowanie własne

Dane dotyczące zapadalności na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 1999-2009 wraz z prognozą na kolejne lata zaprezentowano graficznie na poniższym wykresie (Rysunek 1.).

Rysunek 1.
Zapadalność na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 1999-2009 wraz z prognozą na kolejne lata



Źródło: opracowanie własne

Następnie, wyznaczono wielkość populacji, która może zostać objęta leczeniem temsyrolimusem. Spośród chorych nowozdiagnozowanych, tylko u części stwierdza się cechy uogólnienia w chwili rozpoznania. Odnaleziono następujące doniesienia naukowe, w których określono odsetek chorych nowozdiagnozowanych z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym: *Wysocki 2009, Krzakowski 2007, Szczylik 2010* [12, 21, 25]. Na podstawie tych doniesień literaturowych oceniono, że u 30% chorych na raka nerkowokomórkowego w chwili rozpoznania występują cechy uogólnienia (zaawansowany rak nerkowokomórkowy). Zauważyć również należy, że u około 30% chorych dochodzi do uogólnienia po pierwotnym leczeniu chirurgicznym o założeniu doszczętnym² [25]. Do nawrotów choroby dochodzi często w ciągu roku od jej rozpoznania [21].

Chorzy ze zdiagnozowanym rakiem nerkowokomórkowym, z guzem o średnicy poniżej 10 cm, poddawani są nefrektomii. Leczenie farmakologiczne jest stosowane jako opcja terapeutyczna w raku nerkowokomórkowym, wówczas, gdy nefrektomia i pozostałe zabiegi operacyjne są już niemożliwe (zbyt duży rozmiar guza, uogólnienie nowotworu) lub wystąpił nawrót choroby po ich wykonaniu [21]. Uznano zatem, że nefrektomia może być wykonywana u wszystkich nowozdiagnozowanych chorych, u których nie doszło do uogólnienia choroby, co stanowi 70% chorych z noworozpoznanym rakiem nerkowokomórkowym³. Oznacza to, że dodatkowo (a więc oprócz chorych z pierwotnie zaawansowanym RCC) u 21% chorych nowozdiagnozowanych, u których wykonano pierwotną nefrektomię, dochodzi do nawrotu choroby oraz jej uogólnienia. W analizie przyjęto, że w danym roku odsetek ten dotyczy chorych zdiagnozowanych w roku poprzednim.

Ponadto, na podstawie publikacji *Krzakowski 2011* [13], stwierdzono, że 20% chorych z zaawansowanym RCC należy do grupy chorych o niekorzystnym rokowaniu.



² Metoda najczęściej stosowana w Polsce [21].

³ Jest to założenie konserwatywne, ponieważ w analizie wzięto pod uwagę maksymalną wielkość populacji chorych kwalifikujących się do leczenia.

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

Należy jednak zauważyć, że wyżej wymieniona populacja kwalifikująca się do leczenia temsyrolimusem, nie jest równoważna populacji rzeczywiście leczonej, która to populacja zależy od bardzo wielu czynników i w związku z tym jest trudna do określenia.

W analizie uwzględniono, że chorzy w powyżej określonej populacji docelowej mogą być leczeni również interferonem. W analizie przyjęto konserwatywne założenie, że koszt tych terapii jest równy i na poziomie ustalonym przez koszt najtańszej z wymienionych substancji – co jest założeniem konserwatywnym.

[REDACTED]

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

Zgodnie z *Analizą kliniczną* [5] temsirolimus, oprócz analizowanego wskazania, może być również stosowany w leczeniu chłoniaka z komórek płaszczka. Wyznaczono więc roczną liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana. Z danych Centrum Onkologii wyznaczono roczną zapadalność na chłoniaki nieziarnicze w latach 1999-2009 [11]. Następnie zaprognozowano liczbę chorych w roku 2012. Otrzymane wartości prezentuje poniższa tabela.

Tabela 5.
Zapadalność na chłoniaka nieziarniczego w Polsce w latach 1999-2009 wraz z prognozą na lata 2012-2012

Rok	1999	2000	2001	2002	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009
Liczba nowozdiagnozowanych chorych	1 864	1 810	2 011	2 048	2 165	2 280	2 336	2 426	2 491	2 513	2 584

Źródło: opracowanie własne na podstawie rejestru Centrum Onkologii

Z danych Polskiej Grupy Badawczej Chłoniaków [18] wynika, że chłoniak z komórek płaszczka stanowi 8% nowotworów nieziarniczych, co uznano za wariant maksymalny, natomiast dane Centrum Onkologii wskazują na wartość tego odsetka w wysokości 5%, co przyjęto za wariant minimalny. Wariant prawdopodobny wyznaczono jako średnią wariantu minimalnego i maksymalnego. Otrzymane wartości prezentuje poniższa tabela.

[REDACTED]

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

[REDACTED]

Dodatkowo, w celu wyznaczenia aktualnych wydatków budżetowych, wyznaczono populację aktualnie leczoną w danym wskazaniu. W sposób analogiczny do powyższego, bazując na danych prognozowych oraz odsetkach chorych w poszczególnych grupach otrzymano liczbę chorych na zaawansowanego raka nerkowokomórkowego o niekorzystnym rokowaniu w roku 2012. Wyniki przedstawiono w tabeli poniżej.

[REDACTED]

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

[REDACTED]

Z faktu, iż temsyrolimus nie jest obecnie refundowany, wynika, że wielkość populacji, u której wnioskowana technologia jest aktualnie stosowana, jest równa zero.

2.3 Perspektywa

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy poszerzonej tj. perspektywy obejmującej łącznie wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (zgodnie z *Ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych* jest nim płatnik publiczny, czyli Narodowy Fundusz Zdrowia) oraz wydatki świadczeniobiorcy (pacjenta) współfinansujących leczenie raka nerkowokomórkowego. Ze względu na minimalny udział świadczeniobiorcy w

kosztach terapii, wyniki podane w perspektywie poszerzonej są bardzo bliskie tym, które występują w perspektywie płatnika publicznego.

2.4 Scenariusze porównywane

W ramach analizy wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: „istniejący” oraz „nowy” [1]. W scenariuszu „istniejącym” uwzględniono sytuację, w której temsyrolimus nie jest finansowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym wszyscy chorzy z populacji docelowej (chorzy z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym, wcześniej nieleczeni, o niekorzystnym rokowaniu) leczeni są z zastosowaniem interferonu. W scenariuszu „nowym” wzięto natomiast pod uwagę sytuację, w której temsyrolimus jest refundowany w ramach *Programu lekowego - leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu*. W scenariuszu tym, chorzy z populacji docelowej leczeni są z zastosowaniem temsyrolimusu lub interferonu.

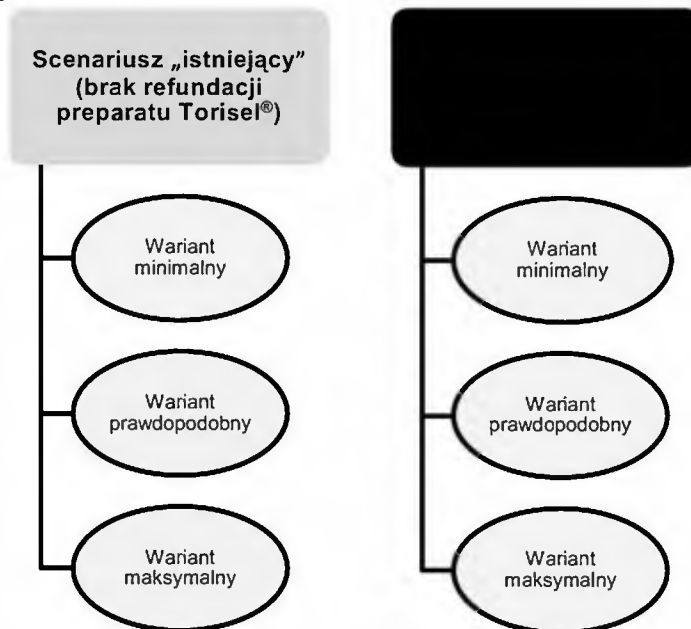
Dla obydwu scenariuszy rozważano trzy warianty (prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny), które uwzględniają różne możliwe realizacje stanów rzeczywistych dotyczących zapadalności na raka nerkowokomórkowego w czasie od lipca 2013 r. do czerwca 2015 r., wyznaczone jako wartość prognozy oraz granice 95% przedziału ufności dla tego oszacowania. Analizę przeprowadzono w oparciu o porównania między odpowiadającymi sobie wariantami.



Na poniższym schemacie (Rysunek 2.) zaprezentowano możliwe scenariusze i warianty.

Rysunek 2.

Rozpatrywane scenariusze w analizie wpływu na budżet płatnika: „istniejący” i „nowy” wraz z rozpatrywanymi wariantami: prawdopodobnym, maksymalnym i minimalnym



Źródło: opracowanie własne

2.5 Parametry uwzględniane

Do czynników mających wpływ na wyniki analizy wpływu na budżet należą:

- wielkość populacji kwalifikującej się do leczenia temsyrolimusem;
- wielkość populacji leczonej temsyrolimusem;
- różniące koszty związane z terapią porównywanymi technologiami medycznymi.

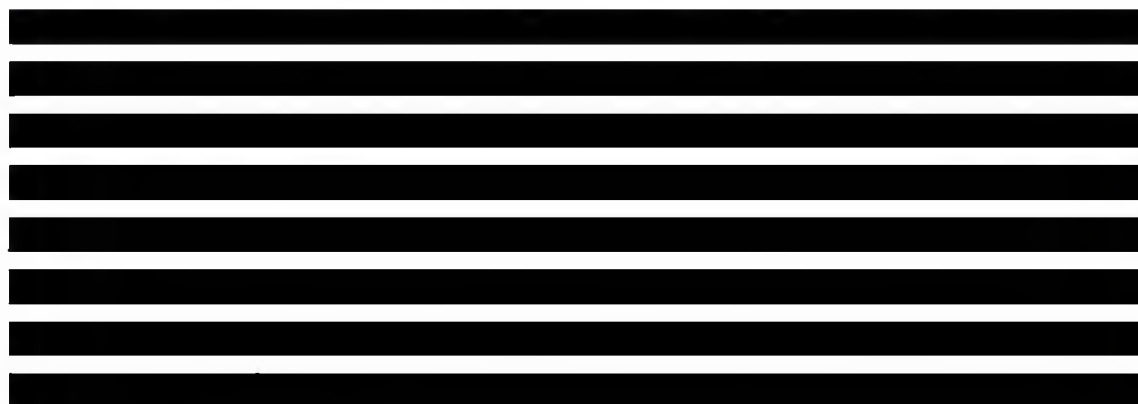
Populację omówiono w punkcie 2.2, natomiast koszty terapii przedstawiono poniżej.

W analizie uwzględniono koszty odpowiadające zasobom zużywanym podczas stosowania poszczególnych terapii w praktyce klinicznej. Ustalono, że terapią stosowaną obecnie w Polsce w populacji docelowej jest interferon. Do oceny kosztów przyjęto dożywotni horyzont czasowy oraz perspektywę poszerzoną płatnika publicznego i pacjenta oraz perspektywę płatnika publicznego. Brano pod uwagę koszty medyczne bezpośrednio, różniące oceniane technologie medyczne. Koszty

różniące określono jako koszty całkowite pomniejszone o koszty wspólne dla ocenianych technologii. Uznano, że koszty pośrednie oraz wszelkie ograniczenia w życiu codziennym i zawodowym związane są wyłącznie z chorobą nowotworową i należą do kategorii kosztów wspólnych, w związku z czym nie brano ich pod uwagę. Charakterystykę kosztów zaczerpnięto z *Analizy ekonomicznej* [2]. Na koszty całkowite związane z leczeniem zaawansowanego RCC składają się:

- koszt leku;
- koszt podania leku;
- koszt monitorowania leczenia;
- różniący koszt leczenia działań niepożądanych;
- różniący koszty opieki paliatywnej.

Do wyznaczenia **kosztu temsyrolimusu i interferonu** konieczne było określenie sposobu dawkowania obydwu substancji. Schematy dawkowania wymienionych leków zostały określone na podstawie badania *Hudes 2007* [8]. Podane tam parametry uwzględniają modyfikacje dawek związane z tolerancją leku i dostosowaniem leczenia do reakcji chorego. Średnia dawka temsyrolimusu wyniosła 23,1 mg tygodniowo, natomiast mediana długości leczenia wynosiła 17 tygodni. Z kolei średnia dawka interferonu alfa-2a wynosiła 30,2 mln j.m. tygodniowo, a mediana długości jego podawania wynosiła 8 tygodni.



⁴ Zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 3. Rozważono zakwalifikowanie temsyrolimusu do odrębnej grupy limitowej. Uwzględniono wartość limitu refundacyjnego na poziomie ceny hurtowej leku.

Interferon alfa-2a obecnie wyceniono na podstawie *Wykazu leków stosowanych w ramach chemioterapii w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń oraz we wskazaniu określonym stanem klinicznym na dzień 1 listopada 2012 r.*, regulowanego *Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 26 października 2012 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 września 2012 r.* [17]. Obliczono cenę hurtową brutto za 1 mln j.m. substancji w wysokości 17,78 PLN (w roku 2013) i 17,61 PLN (w latach 2014 i 2015).

Wyznaczono również **koszt podania porównywanych leków**. W analizie uwzględniono sytuację, w której temsyrolimus jest podawany w ramach hospitalizacji 1-dniowej w ramach programu. Koszt tego świadczenia określono na podstawie *Zarządzenia Nr 66/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 19 października 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe)* [27] oraz *Informatorów o umowach Wojewódzkich Oddziałów Narodowego Funduszu Zdrowia* [9] w całej Polsce - zakładając, że wartości te będą obowiązywały także dla programów lekowych. Koszt ten wynosi 468 PLN. Chory korzysta z hospitalizacji w trybie 1-dniowym przez 17 tygodni (raz w tygodniu).

Przyjęto również, że podanie interferonu może się odbywać w ramach wizyty ambulatoryjnej, której koszt określono jako 104 PLN (na podstawie *Zarządzenia Nr 26/2012/DGL prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r.* [26] oraz *Informatorów o umowach zawartych przez Oddziały Wojewódzkie NFZ* [9]). Przyjęto, że w czasie 8-tygodni leczenia lek ten jest podawany 3 razy w tygodniu.

Na **koszt monitorowania** składa się koszt związany z okresową oceną skuteczności i bezpieczeństwa terapii. W przypadku *Programu lekowego leczenia raka nerki*, monitorowanie jest rozliczane w ramach rocznego ryczałtu za diagnostykę w tym programie. Koszt monitorowania leczenia temsyrolimusem obliczono na podstawie *Zarządzenia Nr 66/2012/DGL prezesa NFZ z dnia 19 października 2012 r.* [27] oraz

Informatora o umowach zawartych przez Oddziały Wojewódzkie NFZ [9], uwzględniając średni czas leczenia wynoszący 17 tygodni [8] oraz przyjmując, że wartość rocznego ryczału w Programie lekowym leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu będzie równa tej wartości w Programie lekowym leczenia raka nerki. Monitorowanie leczenia podczas terapii interferonem, z kolei, rozliczane jest w ramach świadczenia: okresowa ocena skuteczności chemioterapii, zgodnie z Zarządzeniem nr 26/2012/DGL prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 roku w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie chemioterapia [26]. W analizie, uwzględniając średni czas leczenia interferonem wynoszący 8 tygodni [8], przyjęto, że świadczenie to wykonywane jest jeden raz.

Wyznaczono również **koszty leczenia działań niepożądanych**. Uwzględniono jedynie działania niepożądane stopnia 3. lub 4., dla których (na podstawie publikacji *Hudes 2007*) stwierdzono istotne statystycznie różnice pomiędzy ocenianymi technologiami. Do zdarzeń tych należały: astenia, wysypka, obrzęk obwodowy, hiperglikemia, leukopenia. W dalszej analizie pominięto wpływ astenii na koszty terapii, gdyż uznano ją za działanie niepożądane nie podlegające leczeniu farmakologicznemu. W przypadku kosztów leczenia pozostałych działań niepożądanych wykorzystano wyniki dotyczące bezpieczeństwa porównywanych technologii oraz wyznaczono koszty leczenia poszczególnych niepożądanych stanów zdrowia.

Na **koszt opieki paliatywnej** składają się koszty leków przeciwbólowych oraz koszty wizyt w poradni medycyny paliatywnej. Koszty leków przeciwbólowych w leczeniu paliatywnym zostały określone na podstawie polskiej edycji raportu EAPC (ang. *European Association for Palliative Care* - Europejskie Stowarzyszenie Opieki Paliatywnej) [4]. Z kolei na podstawie publikacji *Łuczak 2002* [16] przyjęto, że chory korzysta z około 2 wizyt w poradni medycyny paliatywnej w miesiącu. Jednorazowy koszt wizyty został wyznaczony na podstawie *Informatorów o umowach NFZ*. Przyjęto, że różnice pomiędzy porównywanymi technologiami w kosztach związanych z opieką paliatywną ujawniają się ze względu na różnicę w długości czasu przeżycia od zakończenia terapii podstawowej.

Koszt leku, podania leku, monitorowania leczenia oraz opieki paliatywnej ponoszony jest z budżetu płatnika publicznego. Koszt leczenia działań niepożądanych ponosi płatnik publiczny oraz pacjent.

[REDACTED]

Koszt leczenia działań niepożądanych z perspektywy poszerzonej wynosi 91 PLN dla temsyrolimusu oraz 144 PLN w przypadku komparatora. Z perspektywy płatnika publicznego koszt ten wynosi 81 PLN dla temsyrolimusu oraz 142 PLN dla komparatora.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[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 Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 10.
Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet

Parametr		Wartość	Źródło
Liczba pacjentów leczonych temsirolimusem 1. rok	Wariant minimalny	[REDACTED]	Dane z rejestru Centrum Onkologii, Wysocki 2009, Krzakowski 2007, Szczylik 2010
	Wariant prawdopodobny	[REDACTED]	Dane z rejestru Centrum Onkologii, Wysocki 2009, Krzakowski 2007, Szczylik 2010, dane od Zamawiającego
	Wariant maksymalny	[REDACTED]	Dane z rejestru Centrum Onkologii, Wysocki 2009, Krzakowski 2007, Szczylik 2010, dane od Zamawiającego

Parametr		Wartość	Źródło
Liczba pacjentów leczonych temsirolimusem 1. rok	Wariant minimalny	■	Dane z rejestru Centrum Onkologii, Wysocki 2009, Krzakowski 2007, Szczylik 2010, dane od Zamawiającego
	Wariant prawdopodobny	■	Dane z rejestru Centrum Onkologii, Wysocki 2009, Krzakowski 2007, Szczylik 2010, dane od Zamawiającego
	Wariant maksymalny	■	Dane z rejestru Centrum Onkologii, Wysocki 2009, Krzakowski 2007, Szczylik 2010, dane od Zamawiającego
Długość leczenia	temsirolimus	17 tygodni	Hudes 2007
	interferon alfa-2a	8 tygodni	Hudes 2007
Średnia dawka tygodniowa	temsirolimus	23,1 mg raz w tygodniu (chory zużywa całą fiolkę 30 mg)	Hudes 2007
	interferon alfa-2a	30,2 mln j.m. rozłożone w 3 podaniach	Hudes 2007
Koszt jednostkowy (cena hurtowa brutto) 2013 r.	■	■	■
	■	■	■
	interferon alfa-2a	17,78 PLN za 1 mln j.m.	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 26 października 2012 r.
Koszt wizyty ambulatoryjnej	Związanej z wykonaniem programu	2 punkty po 52 PLN = 104 PLN	Zarządzenie nr 66/2012/DGL Prezesa NFZ, Informator o umowach NFZ
	Związanej z podaniem chemioterapii	2 punkty po 52 PLN = 104 PLN	Zarządzenie nr 66/2012/DGL Prezesa NFZ, Informator o umowach NFZ
Koszt 1-dniowej hospitalizacji	Związanej z wykonaniem programu	9 punktów po 52 PLN = 468 PLN	Zarządzenie nr 66/2012/DGL Prezesa NFZ, Informator o umowach NFZ
	w ramach chemioterapii	9 punktów po 52 PLN = 468 PLN	Zarządzenie nr 66/2012/DGL Prezesa NFZ, Informator o umowach NFZ

Parametr		Wartość	Źródło
Roczny ryczałt za diagnostykę w programie lekowym	temsirolimus	34,4 punktu po 52 PLN = 1788,8 PLN	Zarządzenie nr 66/2012/DGL Prezesa NFZ, Informator o umowach NFZ
Okresowa ocena skuteczności chemioterapii-raz na 2 miesiące	interferon alfa-2a	5 punktów po 52 PLN = 260 PLN	Zarządzenie nr 26/2012/DGL Prezesa NFZ, Informator o umowach NFZ
Częstości występowania działań niepożądanych 3. lub 4. stopnia w grupie temsirolimusu	astenia	11%	<i>Hudes 2007</i>
	wysypka	4%	
	obrzęk obwodowy	2%	
	hiperglikemia	11%	
	leukopenia	1%	
Częstości występowania działań niepożądanych 3. lub 4. stopnia w grupie interferonu alfa-2a	astenia	26%	
	wysypka	0%	
	obrzęk obwodowy	0%	
	hiperglikemia	2%	
	leukopenia	5%	
Sposób leczenia działań niepożądanych	astenia	Ćwiczenia fizyczne; brak leczenia farmakologicznego	<i>Łuczak 2009 [13]</i>
	wysypka	Leczenie ambulatoryjne; erytromycyna, hydrokortyzon	<i>Hetherington 2007 [7]; Lynch 2007 [14]</i>
	obrzęk obwodowy	Leczenie ambulatoryjne; betametazon, prednizolon	<i>Hankins 2001 [6]</i>
	hiperglikemia	Dieta cukrzycowa, insulina	<i>Tatoń [22], Singer 2007 [20]</i>

Parametr		Wartość	Źródło
	leukopenia	Leczenie ambulatoryjne; filgrastym	<i>Dale 2005 [3] Rolski 2007 [19]</i>
Koszt opieki paliatywnej (średni miesięczny)		287,75 PLN	<i>Raport EAPC Łuczak 2002</i>

Źródło: opracowanie własne

2.7 Wydatki budżetowe

2.7.1 Aktualne wydatki

Wyznaczono aktualne wydatki budżetowe (na rok 2012) związane z leczeniem chorych na zaawansowanego raka nerkowokomórkowego o niekorzystnym rokowaniu. Wyniki z perspektywy poszerzonej oraz płatnika publicznego przedstawiono w tabeli poniżej.

Temsirolimus nie jest obecnie refundowany. W związku z tym wielkość populacji, u której wnioskowana technologia jest aktualnie stosowana, jest równa zero. Aktualne wydatki związane z refundacją ceny temsirolimusu są zatem zerowe.

2.7.2 Perspektywa poszerzona

Na podstawie określonej populacji chorych kwalifikujących się do leczenia oraz kosztów poszczególnych technologii medycznych, wyznaczono wydatki budżetowe płatnika. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz wariantu.

Wydatki w perspektywie poszerzonej, a więc ponoszone łącznie przez płatnika publicznego i pacjenta, w scenariuszu „istniejącym” w trzech wariantach przedstawiono w tabeli poniżej.

[Redacted]

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

[Redacted]

Dodatkowo w tabeli poniżej przedstawiono wydatki związane z refundacją produktu Torisel® w scenariuszu „istniejącym” z perspektywy wspólnej płatnika publicznego i pacjenta.

[Redacted]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	█	█
[Redacted]	█	█
[Redacted]	█	█

[Redacted]

Wyznaczono również koszty ponoszone wspólnie przez NFZ i pacjenta w scenariuszu „nowym”.

Wartości całkowitych kosztów związanych z refundacją poszczególnych preparatów w scenariuszu „nowym” w trzech wariantach [Redacted]

[Redacted]

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

[Redacted]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

Dodatkowo w tabelach poniżej przedstawiono wydatki związane z refundacją ceny produktu Torisel® w scenariuszu „nowym” z perspektywy wspólnej płatnika publicznego i pacjenta [Redacted]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

2.7.3 Perspektywa płatnika publicznego

Na podstawie określonej populacji chorych kwalifikujących się do leczenia oraz kosztów leczenia przy użyciu poszczególnych technologii medycznych, wyznaczono wydatki budżetowe płatnika publicznego. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz wariantu.

Wydatki w perspektywie płatnika publicznego, w scenariuszu „istniejącym” w trzech wariantach przedstawiono w tabeli (Tabela 18.).

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

Wyznaczono również koszty ponoszone przez NFZ w scenariuszu „nowym”.

Wartości kosztów związanych z terapią raka nerkowokomórkowego w scenariuszu „nowym” w trzech wariantach [Redacted]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

Dodatkowo w tabelach poniżej przedstawiono wydatki związane z refundacją ceny produktu Torisel® w scenariuszu „nowym” z perspektywy wspólnej płatnika publicznego i pacjenta [Redacted]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

2.8 Przedstawienie wyników

2.8.1 Perspektywa poszerzona

Na podstawie kosztów terapii w scenariuszach „istniejącym” oraz „nowym” wyznaczono wysokość kosztu inkrementalnego, jaki ponoszony jest przez płatnika

publicznego i pacjenta w przypadku wprowadzenia *Programu lekowego - leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu*.

Wysokość kosztu inkrementalnego stanowiącego dodatkowy wydatek płatnika publicznego i pacjenta związany z pozytywną decyzją refundacyjną dla temsyrolimusu zaprezentowano w tabelach poniżej, [REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

	[REDACTED]	[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 Perspektywa płatnika publicznego

Na podstawie kosztów terapii w scenariuszach „istniejącym” oraz „nowym” wyznaczono wysokość kosztu inkrementalnego, jaki ponoszony jest przez płatnika publicznego w przypadku wprowadzenia programu lekowego obejmującego temsirolimus.

Wysokość kosztu inkrementalnego stanowiącego dodatkowy wydatek płatnika publicznego związany z pozytywną decyzją refundacyjną dla temsirolimusu zaprezentowano w tabelach poniżej, [REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

3 Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej

Na podstawie art. 15 *Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (dalej *Ustawa refundacyjna*) należy stwierdzić, że leku Torisel® nie można zakwalifikować do żadnej z obecnie istniejących grup limitowych [23]. Lek Torisel® nie spełnia kryteriów kwalifikacji do wspólnych grup limitowych, o których mowa w art. 15 ust. 2 *Ustawy refundacyjnej* ze względu na brak: tej samej nazwy międzynarodowej, brak tych samych mechanizmów działania i podobnych działań terapeutycznych, zgodności wskazań i przeznaczeń, tej samej skuteczności w porównaniu do jakiegokolwiek innego obecnie refundowanego preparatu (jak wykazano w *Analizie klinicznej*).

Objęcie refundacją temsyrolimusu może nastąpić tylko w drodze utworzenia nowej grupy limitowej. Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Torisel®* stwierdzono, że temsyrolimus jest wskazany do leczenia chorych z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym wcześniej nieleczonych farmakologicznie, o niekorzystnym rokowaniu. Nie jest zatem możliwe włączenie leku Torisel® do jednej z już istniejących grup limitowych, gdyż nie ma grupy limitowej dla preparatów, które miałyby te same wskazania i przeznaczenia oraz sposób działania i udowodnioną skuteczność.

Zgodnie z powyższym uzasadnieniem w analizie rozważono zakwalifikowanie temsyrolimusu do odrębnej grupy limitowej. Uwzględniono wartość limitu refundacyjnego na poziomie oszacowanej ceny hurtowej leku.

4 Założenia i ograniczenia

Zgodnie z szacunkami Podmiotu odpowiedzialnego w analizie - założono, że w pierwszym roku trwania programu ■■■■ chorych potencjalnie kwalifikujących się do leczenia temsyrolimusem będzie nim rzeczywiście leczona, natomiast w drugim roku odsetek ten wyniesie ■■■■

W analizie uznano, że nefrektomia może być wykonywana u wszystkich chorych nowozdiagnozowanych, u których nie doszło do uogólnienia choroby, co stanowi 70% chorych z noworozpoznany rakiem nerkowokomórkowym. Z uwagi na uwzględnioną maksymalną wielkość populacji chorych kwalifikujących się do leczenia jest to założenie konserwatywne. Ponadto, u 21% chorych nowozdiagnozowanych, u których wykonano pierwotną nefrektomię, dochodzi do nawrotu choroby oraz jej uogólnienia. W analizie przyjęto, że w danym roku odsetek ten dotyczy chorych zdiagnozowanych w roku poprzednim.

Przyjęto również, że podanie interferonu może się odbywać w ramach wizyty ambulatoryjnej. W czasie 8-tygodni leczenia lek ten jest podawany 3 razy w tygodniu.

Kolejnym założeniem było uwzględnienie, iż wartość rocznego ryczałtu w *Programie lekowym leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu* będzie równa tej wartości w *Programie lekowym leczenia raka nerki*. Monitorowanie leczenia podczas terapii interferonem, z kolei, rozliczane jest w ramach świadczenia: okresowa ocena skuteczności chemioterapii. W analizie, uwzględniając średni czas leczenia interferonem wynoszący 8 tygodni [8], przyjęto, że świadczenie to wykonywane jest jeden raz.

W analizie wpływu na budżet szacowano koszt opieki paliatywnej. Na podstawie publikacji Łuczak 2002 przyjęto, że chory korzysta z około 2 wizyt w poradni medycyny paliatywnej w miesiącu. Ponadto uwzględniono, że różnice pomiędzy porównywanymi technologiami w kosztach związanych z opieką paliatywną ujawniają się ze względu na różnicę w długości czasu przeżycia od zakończenia terapii podstawowej.

5 Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Wprowadzenie programu lekowego obejmującego temsyrolimus nie spowoduje dodatkowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń zdrowotnych poza zapewnieniem dostępu do nowoczesnego leczenia o udowodnionej skuteczności wcześniej nieleczonym chorym cierpiącym na zaawansowanego raka nerkowokomórkowego o niekorzystnym rokowaniu. Wszystkie czynności personelu będą analogiczne do dotychczasowych, nie wystąpi konieczność dodatkowych przeszkoleń, czy tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. W celu zapoznania się z zasadami podawania pacjentom tego preparatu, wystarczające są materiały dostarczane przez firmę produkującą lek.

6 Aspekty etyczne i społeczne

Pozytywna decyzja refundacyjna odnośnie do temsyrolimusu dotyczy chorych na zaawansowanego raka nerkowokomórkowego wcześniej nieleczonych o niekorzystnym rokowaniu. Wielkość populacji wyznaczonej w punkcie 2.2, która kwalifikuje się do stosowania wskazanej interwencji, szacuje się maksymalnie na [REDACTED]

[REDACTED] Korzyści wynikające z leczenia temsyrolimusem będą zatem dostępne dla wąskiej grupy chorych. Jednakże, biorąc pod uwagę fakt, że obecnie pacjenci nie mają dostępu do nowoczesnego leczenia o udowodnionej skuteczności, wprowadzenie programu lekowego obejmującego leczenie temsyrolimusem umożliwiłoby chorym dostęp do takiej terapii.

Do korzyści związanych z finansowaniem temsyrolimusu ze środków publicznych zaliczyć należy wydłużenie przeżycia całkowitego, zmniejszenie ryzyka zgonu oraz wydłużenie czasu przeżycia wolnego od progresji choroby, przy jednoczesnej poprawie jakości życia pacjentów.

Osoby znajdujące się w zaawansowanym stadium choroby nowotworowej często wymagają opieki ze strony rodziny lub opiekunów, którzy niejednokrotnie zobowiązani są rezygnować z pełnionych przez siebie funkcji społecznych i zawodowych. Pojawianie się terapii pozwalającej na opóźnienie postępu choroby ma zatem korzystny wpływ nie tylko dla samych chorych, ale również dla osób zajmujących się nimi.

Analizując wpływ rozpoczęcia terapii temsyrolimusem na całkowite koszty leczenia raka nerkowokomórkowego zauważyć należy, że objęcie refundacją tego preparatu wiąże się z dodatkowymi wydatkami płatnika publicznego. Jest to m.in. spowodowane faktem, że terapia skierowana jest do wąskiej grupy osób z zaawansowaną chorobą nowotworową. Zatem populacja objęta programem leczenia temsyrolimusem jest populacją, która nie może generować pozytywnych skutków ekonomicznych, a wręcz przeciwnie – wymaga ponoszenia nakładów finansowych związanych z prowadzeniem intensywnej opieki nad chorymi, w tym opieki szpitalnej. Nakłady te stanowią obciążenie dla płatnika publicznego.

Poniższa tabela przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej leczenia temsyrolimusem.

Tabela 32.
Aspekty społeczne i etyczne

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	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;	Duża 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

Warunek	Wartość
Należy rozważyć czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:	
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
Konieczne jest też przeanalizowanie, czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:	
nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
Należy określić, czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:	
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

7 Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy dążono do dokonania oceny wpływu na system opieki zdrowotnej w Polsce, decyzji refundacyjnej dla temsirolimusu, stosowanego w leczeniu zaawansowanego raka nerkowokomórkowego u chorych wcześniej nieleczonych farmakologicznie o niekorzystnym rokowaniu. W tym celu w analizie przyjęto dwa możliwe scenariusze: scenariusz „istniejący”, stanowiący zbiór interwencji obecnie stosowanych w omawianym wskazaniu oraz scenariusz „nowy”, będący przewidywanym zbiorem interwencji dostępnych po wprowadzeniu nowej technologii medycznej. Dla każdego scenariusza przyjęto trzy możliwe warianty: minimalny, prawdopodobny oraz maksymalny. XXXXXXXXXX

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie racjonalizacyjnej wskazano rozwiązania, które spowodują wygenerowanie oszczędności, które w całości pokryją koszty realizacji *Programu lekowego - leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego w grupie chorych o niekorzystnym rokowaniu*.

Finansowanie temsyrolimusu odbywać się będzie według reguł i w warunkach zbliżonych do innych, obecnie realizowanych, metod leczenia pacjentów z rakiem nerkowokomórkowym, a zatem nie wymaga ponoszenia dodatkowych istotnych nakładów związanych z funkcjonowaniem systemu opieki zdrowotnej.

Finansowanie preparatu temsyrolimusu w leczeniu pacjentów z zaawansowanym rakiem nerki wcześniej nieleczonych farmakologicznie, pomimo, że wiąże się ze wzrostem kosztów leczenia, zaowocuje wygenerowaniem korzyści istotnych zarówno z punktu widzenia leczonych, jak i ich rodzin oraz opiekunów, a także całego społeczeństwa.

















8 Spis tabel

Tabela 1. Zapadalność na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 1999-2009.....	10
Tabela 2. Prognozowana zapadalność na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 2012-2015	11
[REDACTED]	13
[REDACTED]	14
Tabela 5. Zapadalność na chłoniaka nieziarniczego w Polsce w latach 1999-2009 wraz z prognozą na lata 2012-2012.....	14
[REDACTED]	15
[REDACTED]	15
[REDACTED]	22
[REDACTED]	22
Tabela 10. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....	22
[REDACTED]	25
[REDACTED]	27
[REDACTED]	27
[REDACTED]	27
[REDACTED]	27
[REDACTED]	28



[Redacted]	
[Redacted]	
[Redacted]	34
[Redacted]	
[Redacted]	
[Redacted]	34
[Redacted]	
[Redacted]	
[Redacted]	35
[Redacted]	
[Redacted]	
[Redacted]	36
[Redacted]	
[Redacted]	
[Redacted]	37
Tabela 32. Aspekty społeczne i etyczne.....	40

9 Spis rysunków

Rysunek 1. Zapadalność na raka nerkowokomórkowego w Polsce w latach 1999-2009 wraz z prognozą na kolejne lata	11
Rysunek 2. Rozpatrywane scenariusze w analizie wpływu na budżet płatnika: „istniejący” i „nowy” wraz z rozpatrywanymi wariantami: prawdopodobnym, maksymalnym i minimalnym.....	17
	
	
	
	32
	
	
	
	33
	
	
	
	35
	
	
	
	36

10 Bibliografia

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych, Wytyczne Oceny Technologii Medycznych stanowiące załącznik do Zarządzenia Nr 1/2010 Prezesa AOTM z dnia 4 stycznia 2010 r. w sprawie wytycznych oceny świadczeń opieki zdrowotnej
2. Binowski G., Kalinowska A., Siemczuk G., Zając J., *Temsyrolimus w leczeniu zaawansowanego raka nerkowokomórkowego u chorych nieleczonych o niekorzystnym rokowaniu. Analiza ekonomiczna*. Warszawa 2012
3. Dale D. *Leczenie neutropenii wywołanej chemioterapią przy użyciu czynników stymulujących wzrost kolonii*. *Onkologia w Praktyce Klinicznej* 2005 , tom 1, nr 1
4. EAPC Task Force on the development of Palliative Care in Europe, <http://www.google.pl/url?sa=t&rct=j&q=eapc%20poland&source=web&cd=5&ved=0CEUQFjAE&url=http%3A%2F%2Fwww.eapcnet.eu%2FLinkClick.aspx%3Ffileticket%3D8FaLDYmrEPQ%253D%26tabid%3D634&ei=1K-OT5raKqqm4gTHjYWmDw&usg=AFQjCNErk7kM7YM8zjWpi8tlhAHwfasNg&cad=rja> (data dostępu 18.04.2012)
5. Głowacka A, Jasińska E, Poręba A. *Temsyrolimus w leczeniu zaawansowanego raka nerkowokomórkowego u chorych nieleczonych o niekorzystnym rokowaniu. Analiza kliniczna*. Warszawa 2012
6. Hankins J. *Infusion therapy in clinical practice. 2-nd edition*. W.B. Saunders Company, 2001
7. Hetherington J. i in. *Managing follicular rash related to chemotherapy and monoclonal antibodies*. *Nursing Management. Community Oncology* 2007; 4: 157-162
8. Hudes G. i in. *Temsyrolimus, Interferon Alfa-2a or both for advanced renal-cell carcinoma*. *The New England Journal of Medicine* 2007, 356(22), 2271-81.
9. Informator o umowach NFZ: <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=2&dzialnr=1&artnr=1483>. (data dostępu: 27.11.2012)
10. Komunikat DGL, Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń-lipiec 2012), <http://www.nfz.gov.pl/new/?katnr=0&dzialnr=2&artnr=4835> (data dostępu: 27.11.2012)
11. Krajowa Baza Danych Nowotworowych <http://85.128.14.124/krn/> (data dostępu: 4.04.2012)

12. Krzakowski M. *Rak nerkowokomórkowy – ewolucja systemowego leczenia*. Onkologia w Praktyce Klinicznej 2007, 3(suplement A): A11-A18.
13. Krzakowski M. [red], Polska Unia Onkologii, Zalecenia postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych, Onkologia w Praktyce Klinicznej 2011, tom I: 342-350
14. Lynch T. i in. *Epidermal growth factor receptor inhibitor – associated cutaneous toxicities: an evolving paradigm in clinical management*. The Oncologist 2007, 12:610-621
15. Łuczak J., Gorzelińska L., *Męczliwość uwarunkowana chorobą nowotworową*. Medycyna Praktyczna Onkologia 2009/01
16. Łuczak J, Kotlińska-Lemieszek A, Kluziak M i in. *Poland: Cancer Pain and Palliative Care*. Journal of Pain and Symptom management 24(2), August 2002
17. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 26 października 2012 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 listopada 2012 r.
18. Rejestr Polskiej Grupy Badawczej Chłoniaków <http://www.plrg.pl/index.php/rejestr-patologiczny-chloniakow/50-lymphonix-4>; data dostępu: 20.10.2012 r.
19. Rolski J., *Krwiotwórcze czynniki wzrostu białych krwinek - zalecenia National Comprehensive Cancer Network*. Medycyna Praktyczna Onkologia 2007/03
20. Singer M. *Management of Comorbid Diabetes and Cancer*. Oncology vol. 21, No. 8, July 1, 2007
21. Szczylik C., Wcisło G. i in. *Rak nerki. Współczesna diagnostyka i terapia*. Termedia Wydawnictwa Medyczne, Poznań 2010
22. Tatoń J., Szczeklik-Kumala T., Czech A. *Leczenie insulinią: wskazania i kryteria decyzji o rozpoczęciu insulinoterapii, monitoring*. Przewodnik Lekarza
23. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dziennik Ustaw z dnia 13 czerwca 2011 roku z póź. zmianami)
24. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, Dz. U. Nr. 210, poz. 2135

-
25. Wysocki P., Krzemieniecki K., Drosik K. i in. *Obecne możliwości leczenia zaawansowanego raka nerkowokomórkowego*. Onkologia w Praktyce Klinicznej 2009, tom 5, nr 5, 181-88.
 26. Zarządzenie Nr 26/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie chemioterapia
 27. Zarządzenie Nr 66/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 19 października 2012 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe)