

**FABRAZYME[®] (AGALZYDAZA BETA)
W DŁUGOTRWAŁEJ ENZYMATYCZNEJ
TERAPII ZASTĘPCZEJ U CHORYCH
Z POTWIERDZONYM ROZPOZNANIEM
CHOROBY FABRY'EGO**

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

Wersja 1.1

Wykonawca:

██████████
██████████
██████████
██████████
██████████

Autorzy:

██████████
██████████

Warszawa, 8 lipca 2013

W dniu 08 lipca 2013 r. analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana w związku z uwagami zawartymi w Piśmie MZ-PLR-460-18167-4/MKR/13 z dnia 02 lipca 2013 r. Pierwotnie analiza została zakończona 20 listopada 2012 r.

Autorzy	Wykonywane zadania
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none">• Koncepcja analizy;• Opracowanie wyników;• Ocena kosztów;• Zdefiniowanie populacji.
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none">• Kontrola jakości;• Ocena kosztów.
[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
2.5.1. Koszt leku	16
2.5.2. Koszt podania leku.....	17
2.5.3. Koszt badań diagnostycznych.....	18
2.5.4. Podsumowanie kosztów	19
2.6. Wydatki budżetowe	20
2.6.1. Scenariusz „istniejący”	20
2.6.2. Scenariusz „nowy”	21
2.6.3. Wyniki analizy wpływu na budżet.....	22
3. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych	23
4. Aspekty etyczne i społeczne	24
5. Podsumowanie i wnioski końcowe	26
6. Spis tabel.....	28
7. Spis rysunków	29
8. Bibliografia.....	30

Indeks skrótów

Skrót	Objaśnienie
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
b/d	brak danych
but.	butelka
CHB	cena hurtowa brutto
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
daw.	dawka
DDD	ang. <i>defined daily dose</i> – dobowa dawka leku
DNA	ang. <i>deoxyribonucleic acid</i> – kwas dezoksyrybonukleinowy
EQ-5D	ang. <i>European Quality of Life-5 Dimensions</i> – europejski kwestionariusz do oceny jakości życia w 5 wymiarach
ERT	ang. <i>enzyme replacement therapy</i> – enzymatyczna terapia zastępcza
fiol.	fiolki
j.m.	jednostki międzynarodowe
kaps.	kapsułki
n/d	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PDD	ang. <i>prescribed daily dose</i> – przepisana dawka leku
powl.	powlekanie
RK AOTM	Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznej
s. subs.	sucha substancja
SWOT	ang. <i>strengths, weaknes, opportunities and threats</i> – analiza mocnych i słabych stron oraz szans i zagrożeń
tabl.	tabletki
URPL	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych

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 Fabrazyme® (agalzydaza beta), który będzie wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego* (dalej nazywany *Programem lekowym*).

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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 okres od lipca 2013r. do końca czerwca 2015r. Populację docelową dla agalzydazy beta stanowią chorzy na chorobą Fabry'ego. Przy oszacowaniu rocznej liczebności wskazanej populacji chorych posłużono się [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: „istniejący” oraz scenariusz „nowy”. Scenariusz „istniejący” obrazuje sytuację obecną, w której Fabrazyme® w omawianym wskazaniu nie jest refundowany w ramach *Programu lekowego*. Chorzy na chorobę Fabry'ego nie są w tym scenariuszu leczeni enzymatyczną terapią zastępczą (chorzy podlegają jedynie leczeniu objawowemu). W scenariuszu „nowym” analizowano sytuację, w której agalzydaza beta w omawianym wskazaniu finansowana będzie z budżetu płatnika publicznego w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego*. 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.

Parametrami uwzględnianymi w analizie były: wielkość populacji docelowej chorych; wielkość populacji, w której będzie stosowany preparat Fabrazyme® w scenariuszu „istniejącym” oraz „nowym”; koszt leku; koszt podania leku; oraz koszt wykonywanych badań diagnostycznych

WYNIKI

Decyzja dotycząca refundacji leku Fabrazyme® w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego* w analizowanym wskazaniu spowoduje

[REDAKCE]

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

Refundacja leku Fabrazyme® będzie się wiązała z utworzeniem nowej grupy limitowej, ponieważ w przypadku utworzenia *Programu lekowego* będzie to pierwszy refundowany preparat stosowany w leczeniu choroby Fabry'ego.

W analizie rozważono sytuację, w której stosowanie produktu Fabrazyme® odbywać się będzie według nowo utworzonego *Programu lekowego*, co będzie związane ze zmianą organizacji udzielania świadczeń zdrowotnych. Nie będzie to jednak wymagało ponoszenia dodatkowych nakładów związanych z funkcjonowaniem systemu opieki zdrowotnej ponad ocenę skuteczności leczenia wykonywaną przy pomocy przeprowadzania regularnych badań diagnostycznych.

Ponadto należy zauważyć, że rozpoczęcie finansowania preparatu leczniczego Fabrazyme® w ramach *Programu lekowego* będzie stanowiło dla chorych jedyną opcję terapeutyczną, której do tej pory nie posiadali. Wpłynie to w sposób bardzo znaczący na poprawę zadowolenia tych chorych z otrzymywanych świadczeń zdrowotnych.

Realizacja scenariusza „nowego” w odniesieniu do scenariusza „istniejącego” spowoduje wzrost wydatków związanych z terapią chorych w populacji docelowej, w perspektywie płatnika publicznego. Jednocześnie, zakwalifikowanie agalzydazy beta do *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego* w omawianym wskazaniu zapewni pacjentom lepszą kontrolę choroby. Fabrazyme® stosowany będzie w grupie chorych, u których nie istnieje alternatywna metoda leczenia.

[Redacted content]

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 Fabrazyme[®] (agalzydaza beta) w leczeniu choroby Fabry'ego.

Obecnie agalzydaza beta nie jest refundowana w omawianym wskazaniu. Wnioskowanym sposobem refundacji leku Fabrazyme[®] jest finansowanie w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego*.

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, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

2.2. Populacja

Populację badaną w analizie wpływu na budżet dla agalzydazy beta, zgodnie z Wytycznymi AOTM, stanowią chorzy, u których oceniana technologia może być zastosowana [1]. Zgodnie z *Charakterystyką Produktu Leczniczego Fabrazyme®* [4] agalzydaza beta jest wskazana w długotrwałej, enzymatycznej terapii zastępczej (ang. *enzyme replacement therapy* – ERT) u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Fabry’ego (niedoborem alfa-galaktozydazy A).

W celu oszacowania liczby chorych kwalifikujących się do terapii agalzydazą beta posłużono się [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

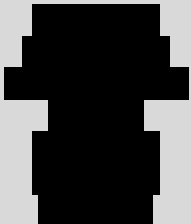




[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

				
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	■	■	■
[REDACTED]	■	■	■
[REDACTED]	■	■	■

[REDACTED]

2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012r.* [15], które dotyczy minimalnych wymagań jakie muszą spełniać analizy, analiza wpływu na system ochrony zdrowia została wykonywana 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 lub właściwi ministrowie [18]). Zgodnie z wytycznymi AOTM [1] analizę wpływu na budżet należy przeprowadzić z perspektywy płatnika publicznego oraz pacjenta (świadczeniobiorcy), w przypadku współpłacenia. [REDACTED]

[REDACTED]

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 Fabrazyme® nie jest refundowany w omawianym wskazaniu w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego*. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

	[REDACTED]		
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	■	■	■
[REDACTED]	■	■	■
[REDACTED]	■	■	■
	[REDACTED]		
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	■	■	■
[REDACTED]	■	■	■
[REDACTED]	■	■	■

2.5. Parametry uwzględniane

Do czynników mających wpływ na wyniki analizy finansowej należą:

- wielkość populacji docelowej chorych;
- wielkość populacji, w której będzie stosowany preparat Fabrazyme® w scenariuszu „istniejącym” oraz „nowym”;
- koszt leku;
- koszt podania leku;
- koszt wykonywanych badań diagnostycznych.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Populację docelową omówiono w rozdziale (rozdział 2.2), natomiast koszty związane z leczeniem chorych w populacji docelowej zostały przyjęte na podstawie obliczeń w modelu wykonanym w *Analizie ekonomicznej* [3]. Koszty jednostkowe przedstawiono w poniższych rozdziałach.

2.5.1. Koszt leku

Agalzydaza beta (Fabrazyme®) dostępna jest w postaci fiolek zawierających 50 mg substancji czynnej w postaci proszku. Cenę hurtową brutto (CHB) jednej fiołki oraz 1 mg substancji przedstawiono w tabeli (Tabela 5.).

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

2.5.2. Koszt podania leku

Zgodnie z zapisami zawartymi w rozporządzeniach Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu programów zdrowotnych, świadczenia związane z realizacją programów terapeutycznych (obecnie lekowych) mogą być wykonywane w jednym z następujących trybów: ambulatoryjnym lub jednodniowym lub hospitalizacji [13].

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

2.5.3. Koszt badań diagnostycznych

W analizie uwzględniono koszty badań diagnostycznych, którym podlegają chorzy włączeni do *Programu lekowego*. Badania diagnostyczne są standardowo wykonywane we wszystkich programach lekowych w celu kwalifikacji chorego do programu, a następnie w celu określenia okresowej skuteczności leczenia. Przyjęto, że badania są wykonywane w ramach ryczału rocznego za diagnostykę.

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

Koszt wskazanych badań diagnostycznych ponosi płatnik publiczny. Badania uwzględniane w ramach rocznego ryczałtu za diagnostykę w Programie lekowym leczenia choroby Fabry'ego przedstawiono w załączniku *Analizy ekonomicznej*.

2.5.4. Podsumowanie kosztów

Koszty całkowite różniące poszczególne terapie przypadające na jednego pacjenta, w rocznym horyzoncie czasowym, zaprezentowano w tabeli poniżej (Tabela 9).





2.6. Wydatki budżetowe

Na podstawie wielkości populacji docelowej, u której występuje choroba Fabry'ego, 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.



2.6.1. Scenariusz „istniejący”

[Redacted text block]

[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 text block]

2.6.2. Scenariusz „nowy”

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	■	■	■
[Redacted]	■	■	■
[Redacted]	■	■	■

[Redacted text block]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

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 Fabrazyme® w leczeniu choroby Fabry’ego. [Redacted]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[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]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

3. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja dotycząca rozpoczęcia finansowania produktu Fabrazyme® stosowanego w leczeniu choroby Fabry'ego wiąże się ze zmianami w organizacji udzielania świadczeń zdrowotnych.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

4. Aspekty etyczne i społeczne

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Fabrazyme® w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego*, 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, u których wystąpiła bądź wystąpi manifestacja kliniczna choroby, co zapewnia właściwe leczenie i równy dostęp do terapii wszystkim cierpiącym z powodu tego schorzenia. Na podstawie *Analizy klinicznej* stwierdzić można, że

wnioskowana technologia poprawia jakość życia chorych (ocenianą na podstawie arkusza EQ-5D) głównie poprzez złagodzenie objawów chorobowych takich jak piekący ból kończyn, zmiany skórne oraz dolegliwości przewodu pokarmowego; generuje więc istotne klinicznie dodatkowe efekty zdrowotne

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

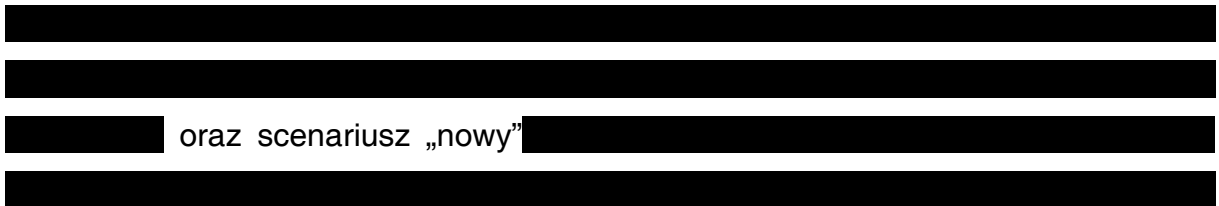
[REDACTED]

[REDACTED]



5. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy dążono do wykonania oceny wpływu na system opieki zdrowotnej w Polsce, pozytywnej decyzji dotyczącej finansowania produktu Fabrazyme® (agalzydaza beta) w ramach *Programu lekowego leczenia choroby Fabry'ego*. W tym celu w analizie przyjęto dwa możliwe scenariusze: scenariusz „istniejący”



oraz scenariusz „nowy”

Dla każdego scenariusza przyjęto trzy możliwe warianty: minimalny, prawdopodobny oraz maksymalny.

[REDACTED]

Refundacja leku Fabrazyme® będzie się wiązała z utworzeniem nowej grupy limitowej, ponieważ w przypadku utworzenia *Programu lekowego* będzie to pierwszy refundowany preparat stosowany w leczeniu choroby Fabry'ego.

[REDACTED]

Ponadto, należy zauważyć, że rozpoczęcie finansowania preparatu leczniczego Fabrazyme® w ramach *Programu lekowego* będzie stanowiło dla chorych jedyną opcję terapeutyczną, której do tej pory nie posiadali. Wpłynie to w sposób bardzo znaczący na poprawę zadowolenia tych chorych z otrzymywanych świadczeń zdrowotnych.

[REDACTED]

6. Spis tabel

[Redacted content]

[Redacted text block]

7. Spis rysunków

[Redacted text block]

8.Bibliografia

- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]