

# **Toksyna botulinowa typu A (BOTOX®) w leczeniu nietrzymania moczu o podłożu neurogennym**

**Analiza wpływu na budżet**



Warszawa

2013

**Autorzy raportu:**

[REDACTED] - HealthQuest Sp. z o.o.  
sp.k.

**Wkład pracy:**

[REDACTED]

**Adres do korespondencji:**

[REDACTED]  
[REDACTED]

HealthQuest Sp. z ograniczoną odpowiedzialnością Sp.k.  
ul. Mickiewicza 63 Budynek Megadex A,  
01-625 Warszawa  
tel./fax +48 22 468 05 34,  
[kontakt@healthquest.pl](mailto:kontakt@healthquest.pl)

**Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:**

Allergan Sp. z o.o.  
Aleje Jerozolimskie 94  
00-807 Warszawa

**Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:**

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

## SPIS TREŚCI

SPIS TREŚCI .....	3
SKRÓTY I AKRONIMY .....	5
STRESZCZENIE .....	6
<b>1 CEL ANALIZY .....</b>	<b>8</b>
<b>2 METODY .....</b>	<b>9</b>
2.1 Perspektywa analizy .....	9
2.2 Horyzont czasowy .....	9
2.3 Epidemiologia .....	9
2.3.1 Populacja docelowa .....	9
2.3.1.1 Pierwszy etap .....	<b>Błąd! Nie zdefiniowano zakładki.</b>
2.3.1.2 Drugi etap .....	<b>Błąd! Nie zdefiniowano zakładki.</b>
2.3.1.3 Trzeci etap .....	<b>Błąd! Nie zdefiniowano zakładki.</b>
2.3.1.4 Czwarty etap .....	<b>Błąd! Nie zdefiniowano zakładki.</b>
2.3.1.5 Piąty etap .....	<b>Błąd! Nie zdefiniowano zakładki.</b>
2.3.2 Populacja, w której może być zastosowana wnioskowana technologia .....	13
2.3.3 Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana .....	20
2.4 Dynamika populacji w programie .....	20
2.5 Częstość podań .....	21
2.6 Koszty .....	22
2.6.1 Koszty programu lekowego .....	22
2.6.1.1 Koszty substancji czynnej .....	22
2.6.1.2 Koszty podania .....	22
2.6.1.3 Koszty diagnostyki i monitorowania leczenia .....	23
2.6.2 Koszty leczenia zachowawczego .....	24
2.6.2.1 Artykuły higieniczne .....	24
2.6.2.2 Czyste przerywane cewnikowanie .....	25
2.6.2.3 Porada ambulatoryjna u urologa .....	26
2.6.2.4 Leki antycholinergiczne .....	27
<b>3 WYNIKI .....</b>	<b>30</b>

3.1	Scenariusz istniejący.....	30
3.2	Scenariusz nowy.....	34
3.3	Scenariusz inkrementalny .....	38
<b>4</b>	<b>OGRANICZENIA I DYSKUSJA.....</b>	<b>43</b>
<b>5</b>	<b>ASPEKTY SPOŁECZNE I ETYCZNE.....</b>	<b>44</b>
<b>6</b>	<b>WNIOSKI.....</b>	<b>45</b>
<b>7</b>	<b>ANEKS.....</b>	<b>46</b>
7.1	Aspekty etyczne i społeczne wniosku.....	46
7.2	Roczna liczebność populacji pacjentów leczonych toksyną botulinową typu A w programach lekowych .....	48
7.3	Zestawienie tabelaryczne wprowadzonych wartości.....	49
7.4	Zgodność z minimalnymi wymaganiami .....	50
	<b>SPIS TABEL.....</b>	<b>54</b>
	<b>SPIS RYCIN.....</b>	<b>56</b>
	<b>PIŚMIENNICTWO.....</b>	<b>57</b>

## SKRÓTY I AKRONIMY

AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
BSC	leczenie zachowawcze (ang. <i>best supportive care</i> )
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CIC	czyste przerywane cewnikowanie
MZ	Minister Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NDO	nadreaktywność mięśnia wypieracza (ang. <i>neurogenic detrusor overactivity</i> )
OAB	zespół pęcherza nadreaktywnego (ang. <i>overactive bladder</i> )
NOAB	neurogenna nadreaktywność pęcherza (ang. <i>neurogenic overactive bladder</i> )
SR	stwardnienie rozsiane
URK	uraz rdzenia kręgowego
WHO	Światowa Organizacja Zdrowia

## STRESZCZENIE

### Cel analizy

Celem analizy jest ocena obciążeń budżetowych Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) związanych z finansowaniem ze środków publicznych preparatu toksyny botulinowej typu A (BOTOX®) w ramach programu lekowego leczenia nietrzymania moczu u podłożu neurogennym.

### Metody

Populację docelową w analizie wpływu na budżet stanowią pacjenci kwalifikujący się do zaproponowanego programu leczenia nietrzymania moczu o podłożu neurogennym.

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) w 3-letnim horyzoncie czasowym (2014-2016). Populację programu oszacowano na podstawie piśmiennictwa i opinii ekspertów.

Analizowano dwa scenariusze: istniejący – zakładający brak programu lekowego oraz nowy – zakładający wprowadzenie programu lekowego. Dane o kosztach jednostkowych leków, wizyt ambulatoryjnych, hospitalizacji i kosztów wyrobów medycznych zaczerpnięto z oficjalnych źródeł NFZ i Ministerstwa Zdrowia. Niepewność założeń zbadano poprzez symulację scenariusza maksymalnego i minimalnego.

### Wyniki

[Redacted content]

### Wnioski



**Słowa kluczowe**

toksyna botulinowa typu A, BOTOX, nietrzymanie moczu o podłożu neurogennym, analiza wpływu na budżet, nadreaktywność mięśnia wypieracza

## 1 CEL ANALIZY

Celem analizy jest ocena obciążeń budżetowych Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) związanych z finansowaniem ze środków publicznych preparatu toksyny botulinowej typu A (BOTOX®) w ramach programu lekowego leczenia nietrzymania moczu u podłożu neurogennym.

W Tab. 1 przedstawiono problem decyzyjny analizy wpływu na budżet w postaci schematu PICO.

**Tab. 1**  
**Cel analizy z wyszczególnieniem PICO.**

<b>Populacja</b>	Pacjenci kwalifikujący się do programu lekowego leczenia nietrzymania moczu o podłożu neurogennym
<b>Interwencja</b>	Toksyna botulinowa typu A (BOTOX®) dawkowana zgodnie z zarejestrowanych schematem
<b>Komparator</b>	Leczenie zachowawcze (BSC, ang. <i>best supportive care</i> )
<b>Wyniki</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• bezpośrednie koszty związane z wprowadzeniem preparatu na listę leków refundowanych w ramach programu lekowego;</li><li>• wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych;</li><li>• aspekty etyczne i społeczne.</li></ul>



## 2 METODY

### 2.1 Perspektywa analizy

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego finansującego świadczenia zdrowotne – Narodowego Funduszu Zdrowia.

### 2.2 Horyzont czasowy

Przyjęto 3-letni horyzont czasowy analizy. Jest to czas niezbędny do ustalenia stanu równowagi. Na potrzeby analizy założono, że będzie to okres od 2014 roku do 2017 roku czyli po wprowadzeniu programu lekowego leczenia nietrzymania moczu o podłożu neurogennym.

### 2.3 Epidemiologia

Brak jest precyzyjnych danych epidemiologicznych dotyczących częstości występowania w populacji ogólnej i Polskiej zaburzeń dolnych dróg moczowych o podłożu neurogennym, w szczególności nadreaktywności mięśnia wypieracza pęcherza moczowego (NDO – ang. *neurogenic detrusor overactivity*). Występowanie tego zaburzenia zależy od rodzaju i czasu trwania choroby neurologicznej, na tle której powstaje NDO.

Rozpowszechnienie zespołu pęcherza nadreaktywnego (OAB – ang. *overactive bladder*), szacowane jest na od 10% do 17% w Europie i 17% w Stanach Zjednoczonych.<sup>1,2,3</sup> Retrospektywna analiza medycznych baz danych wskazuje, że w populacji amerykańskiej pacjenci z neurogenną nadreaktywnością pęcherza (NOAB – ang. *neurogenic overactive bladder*) stanowili 9,9% pacjentów z pośród pacjentów mających zespół nadreaktywnego pęcherza (OAB). W populacji pacjentów z NOAB 17,2% stanowili pacjenci z diagnozą stwardnienia rozsianego i 4,3% pacjenci z urazem rdzenia kręgowego.<sup>4</sup>

#### 2.3.1 Populacja docelowa





[Redacted content]

**Tab. 3**  
Zestawienie danych epidemiologicznych dotyczących chorobowości stwardnienia rozsianego w Polsce (opracowanie własne).

[Redacted content]

**Tab. 4**  
Zestawienie danych o liczbie chorych na stwardnienie rozsiane w Polsce.

Liczba chorych na SM w Polsce	Źródło
60 000	Ministerstwo Zdrowia 2007 <sup>8</sup>
40 000	Opis Programu Terapeutycznego „Leczenie preparatem natalizumab (Tysabri) chorych ze stwardnieniem rozsianym o wysokim ryzyku szybkiego postępu niepełnosprawności” opracowanego przez prof. dr n. med. Danutę Gryglewicz, Konsultanta Krajowego w dziedzinie neurologii; Stanowisko RK AOTM 2010 <sup>7</sup>

[Redacted content]

[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 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]

### **2.3.2 Populacja, w której może być zastosowana wnioskowana technologia**

Produkt leczniczy BOTOX® wskazany jest w leczeniu:

1. kurczu powiek, połowiczego kurczu twarzy i związanych z nim ogniskowych dystonii;
2. idiopatycznym kręczu karku (dystonia szyjna);
3. ogniskowych przykurczach (spastyczność):



- związanych z dynamiczną deformacją stopy końsko-szpotaowej spowodowanej spastycznością u dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym, w wieku dwóch lat i starszych;
  - nadgarstka i dłoni u dorosłych pacjentów po udarze;
4. leczeniu zmarszczek gładziny czoła spowodowanych nadmiernym kurczeniem się mięśnia marszczącego brwi oraz mięśnia podłużnego nosa;
5. uporczywej, ciężkiej, pierwotnej nadpotliwości pach, przeszkadzającej w codziennych czynnościach i odpornej na leczenie miejscowe.
6. profilaktyce bólów głowy u pacjentów dorosłych cierpiących na przewlekłą migrenę (ból głowy występujący 15 dni w miesiącu lub częściej).<sup>28</sup>
7. nietrzymaniu moczu u pacjentów dorosłych z nadreaktywnością mięśnia wypieracza pęcherza moczowego o podłożu neurogennym po stabilnych urazach rdzenia kręgowego poniżej odcinka szyjnego oraz u pacjentów ze stwardnieniem rozsianym.

Oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których można zastosować toksynę botulinową typu A (BOTOX®) we wskazaniach:

- dystonie ogniskowe i połowiczy kurcz twarzy oraz spastyczność w mózgowym porażeniu dziecięcym:

W chwili obecnej terapia toksyną botulinową typu A jest refundowana w ramach dwóch programów lekowych:

- 1) „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym” (preparaty: BOTOX®, DYSPORT®) oraz
- 2) „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy” (preparaty: BOTOX®, DYSPORT®, XEOMIN®).<sup>34</sup>

Do programu lekowego „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym” włączani są pacjenci w wieku 2-17 lat z potwierdzonym rozpoznaniem mózgowego porażenia dziecięcego z towarzyszącą spastycznością ograniczającą funkcjonowanie dziecka lub zagrażającą rozwojem utrwalonych przykurczy mięśniowych i deformacji kostno-stawowych. Natomiast do programu lekowego „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy” kwalifikowani są pacjenci cierpiący na kręcz karku, kurcz powiek lub połowiczy kurcz twarzy potwierdzone badaniami diagnostycznymi z wykluczoną miastenią i zespołem miastenicznym.<sup>34</sup>

Wg komunikatów NFZ, w 2012 roku w ramach programów terapeutycznych wykorzystano ponad 6,5 tys. fiolek toksyny botulinowej typu A co spowodowało wydatki płatnika publicznego wynoszące ponad 4 mln zł. [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDACTED]

- ogniskowe przykurcze nadgarstka i dłoni u pacjentów dorosłych po udarze

Zgodnie ze stanowiskiem ekspertów: prof. Danuty Ryglewicz, Konsultanta Krajowego w dziedzinie Neurologii oraz prof. Jarosława Sławka, Przewodniczącego Sekcji Schorzeń Pozapiramidowych Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, przytoczonym w Stanowisku Rady Konsultacyjnej dnia 30 marca 2009 r. do terapii toksyną botulinową typu A w Polsce we wskazaniu spastyczność kończyny górnej po udarze mózgu kwalifikowałoby się, od 2 do 4 tys. pacjentów rocznie.<sup>30</sup>

- leczenie zmarszczek gładziny czoła spowodowanych nadmiernym kurczeniem się mięśnia marszczącego brwi lub mięśnia podłużnego nosa oraz pierwotna nadpotliwość pach oporna na leczenie miejscowe

[REDACTED]

Tab. 9

Dane IMS dotyczące sprzedaży preparatów BOTOX® i VISTABEL® w celach poprawy wyglądu zmarszczek gładziny czoła, zmarszczek wokół oczu oraz w leczeniu nadpotliwości pach .

- profilaktyka bólów głowy u pacjentów dorosłych cierpiących na migrenę przewlekłą

Nie ma wiarygodnych danych epidemiologicznych dotyczących rozpowszechnienia migreny przewlekłej w Polsce

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

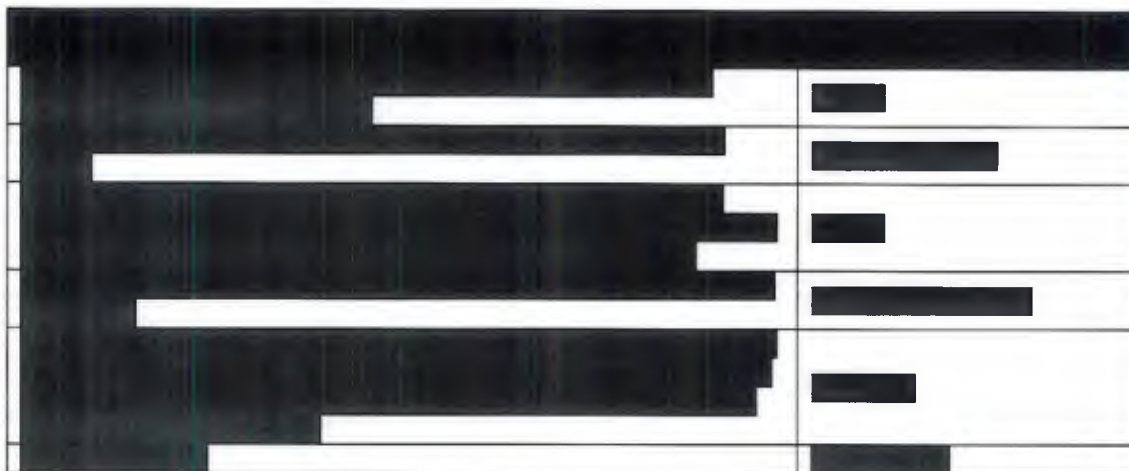




[REDACTED]



**Tab. 12**  
**Oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.**



### 2.3.3 Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Brak jest wiarygodnych danych o populacji pacjentów, u których jest obecnie stosowana toksyna botulinowa typu A (BOTOX®) w schemacie i dawce zarejestrowanej w profilaktyce przewlekłej migreny.



### 2.4 Dynamika populacji w programie





**Ryc. 1**  
**Odsetek pacjentów z populacji docelowej biorących udział w programie lekowym.**



## 2.5 Częstość podań



**Tab. 13**

[Redacted]	
Odpowiedź na leczenie	[Redacted]
Brak odpowiedzi na leczenie	[Redacted]

Oszacowana średnia na podstawie danych z Tab. 21





### 2.6.1.3 Koszty diagnostyki i monitorowania leczenia

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

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



A redacted table with a grid structure. It has approximately 4 columns and 3 rows. The content is completely obscured by black bars.

## **2.6.2 Koszty leczenia zachowawczego**

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

### **2.6.2.1 Artykuły higieniczne**

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]



**Tab. 20**  
Liczba epizodów nietrzymania moczu w okresie 28 dni z badania Cruz 2011 i Ginsberg 2012.

Stan zdrowia	BOTOX®		BSC	
	SR	URK	SR	URK
Odpowiedź na leczenie, kontynencja	0	0	0	0
Odpowiedź na leczenie, brak kontynencji	27,2	30,4	38,4	28,4
Brak odpowiedzi na leczenie	156	136,8	120,8	123,2

**Tab. 21**  
Odsetki pacjentów w stanach zdrowia w 6 i 12 tygodniu na podstawie badań Cruz 2011 i Ginsberg 2012.

Stan zdrowia	BOTOX®		BSC	
	SR	URK	SR	URK
<b>W 6 tygodniu</b>				
Odpowiedź na leczenie, kontynencja	0,415	0,309	0,107	0,073
Odpowiedź na leczenie, brak kontynencji	0,385	0,392	0,382	0,191
Brak odpowiedzi na leczenie	0,200	0,299	0,511	0,736
<b>W 12 tygodniu</b>				
Odpowiedź na leczenie, kontynencja	0,398	0,316	0,096	0,058
Odpowiedź na leczenie, brak kontynencji	0,398	0,421	0,328	0,204
Brak odpowiedzi na leczenie	0,203	0,263	0,576	0,738
Średni odsetek pacjentów wymagający artykułów higienicznych*	0,5935	0,6875	0,8985	0,9345

\* średni odsetek pacjentów bez kontynencji, tj. pacjenci z odpowiedzią na leczenie bez kontynencji oraz pacjenci bez odpowiedzi na leczenie

### 2.6.2.2 Czyste przerywane cewnikowanie

[Redacted content]

**Tab. 23**

**Średnia liczba czystych przerywanych cewnikowań w okresie 28 dni z badania Cruz 2011 i Ginsberg 2012.**

Stan zdrowia	BOTOX®		BSC	
	SR	URK	SR	URK
Odsetek pacjentów z odpowiedzią na leczenie (średnia z 6 i 12 tygodnia, patrz Tab. 21)				
Odpowiedź na leczenie, kontynuacja	0,4065	0,3125	0,1015	0,0655
Odpowiedź na leczenie, brak kontynuacji	0,3915	0,4065	0,355	0,1975
Brak odpowiedzi na leczenie	0,2015	0,281	0,5435	0,737
Liczba czystych przerywanych cewnikowań w okresie 28 dni w zależności od odpowiedzi na leczenie				
Odpowiedź na leczenie, kontynuacja	55,88	122,41	31,80	96,27
Odpowiedź na leczenie, brak kontynuacji	56,91	121,47	38,83	125,26
Brak odpowiedzi na leczenie	32,34	110,99	38,24	132,74
Średnia liczba CIC ważona odsetkiem odpowiedzi na leczenie	51,511995	118,81887	37,79579	128,873915

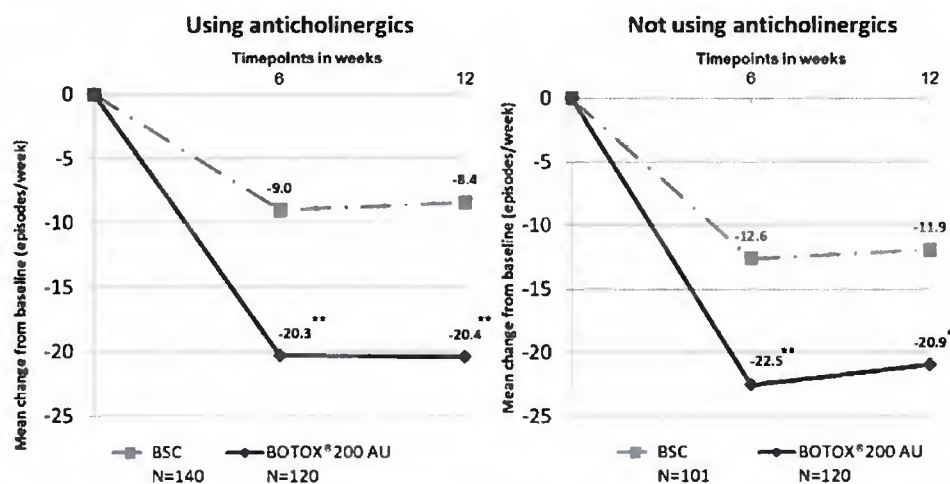
**2.6.2.3 Porada ambulatoryjna u urologa**

[Redacted content]





Ryc. 2  
Zmiany tygodniowej częstości epizodów nietrzymania moczu dla cyklu 1 badania (1-12 tydzień) w zależności od stosowania leków antycholinergiczných (populacja ITT, dane zleceniodawcy).



Mean baselines:  
BSC = 29.9/wk, BOTOX® 200U = 28.7/wk

Mean baselines:  
BSC = 33.7/wk, BOTOX® 200U = 36.5/wk

\*  $p < 0.05$ ; \*\*  $p < 0.001$  (BOTOX® 200 U versus BSC)

**Tab. 27**  
**Koszty leków antycholinergicznycch stosowanych w nietrzymaniu moczu.<sup>34,47</sup>**

Nazwa	Zawartość opakowania	EAN	Cena detaliczna	Limit	Odpłatność	Udział w refundacji DDD	Koszt miesięczny z perspektywy NFZ
Grupa limitowa: 75.1. Leki urologiczne stosowane w nietrzymaniu moczu - oksybutynina							
Ditropan	30 tabl. po 5 mg	5909990163519	15,76	14,11	30%	0,153097768	27,664
Ditropan	30 tabl. po 5 mg	5909997013947	14,9	14,11	30%	8,29212E-05	27,664
Driptane	60 tabl. po 5 mg	5909990783816	28,21	28,21	30%	0,132206631	27,65
Driptane	60 tabl. po 5 mg	5909997065892	25,89	25,89	30%	0,000299792	25,368
Grupa limitowa: 75.2. Leki urologiczne stosowane w nietrzymaniu moczu - solifenacyna, tolterodyna							
Vesicare 10 mg	30 tabl. po 10 mg	5909990215584	130,59	76,68	30%	0,384427181	25,05067
Vesicare 5 mg	30 tabl. po 5 mg	5909990215553	126,95	38,34	30%	0,054248747	25,05067
Urimper	60 szt. po 2 mg	5909991008642	40,23	38,34	30%	0	25,05067
Urimper	30 szt. po 4 mg	5909991008666	40,23	38,34	30%	0	25,05067
Urimper	60 szt. po 4 mg	5909991008680	76,68	76,68	30%	0	25,05067
Uroflow 1	28 tabl. po 1 mg	5909990648559	19,81	8,95	30%	0,031134345	25,04
Uroflow 2	28 tabl. po 2 mg	5909990648641	21,57	17,89	30%	0,244502616	25,04
<b>Średni koszt miesięczny terapii</b>							<b>25,79</b>

### **3 WYNIKI**

#### **3.1 Scenariusz istniejący**

[Redacted text block containing multiple lines of blacked-out content]











### 3.2 Scenariusz nowy

[Redacted text block containing multiple paragraphs of blacked-out content]







### **3.3 Scenariusz inkrementalny**

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









**Ryc. 3**

**Koszty: A. scenariusza inkrementalnego w zależności od liczebności populacji docelowej, B. programu lekowego.**





## **5 ASPEKTY SPOŁECZNE I ETYCZNE**

[REDAKTED]

Kryteria programu wskazują, że wnioskowana technologia będzie stosowana u pacjentów, u których dotychczasowe leczenie było nieskuteczne lub wiązało się z działaniami niepożądanymi. Poprawi to satysfakcję z leczenia oraz poprawi jakość życia pacjentów.

Poprzez zmniejszanie częstości epizodów nietrzymania moczu, program lekowy może przyczynić się do zmniejszenia stygmatyzacji chorych z nietrzymaniem moczu o podłożu neurogennym.

W aneksie przedstawiono komentarze do obszarów etycznych i społecznych wskazanych w Wytycznych oceny technologii medycznych (HTA) Agencji Oceny Technologii Medycznych.





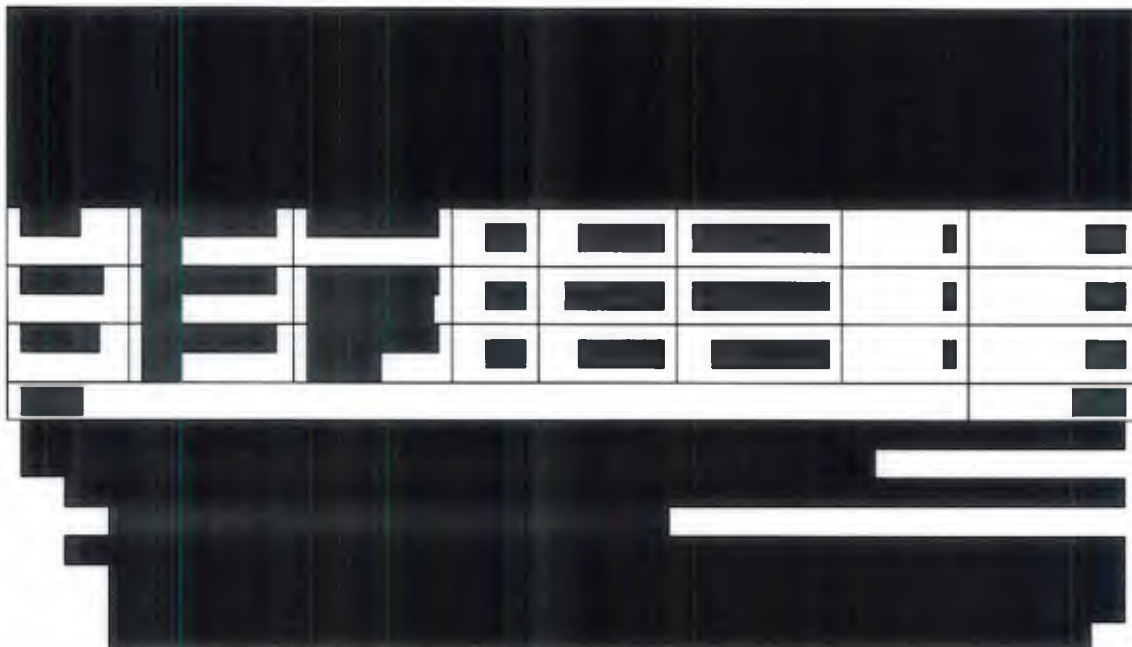
## **7 ANEKS**

### **7.1 Aspekty etyczne i społeczne wniosku**

[Redacted text block containing multiple paragraphs of blacked-out content]



## 7.2 Roczna liczebność populacji pacjentów leczonych toksyną botulinową typu A w programach lekowych





#### **7.4 Instrument dzielenia ryzyka obowiązujący na dzień 16.07.2013**









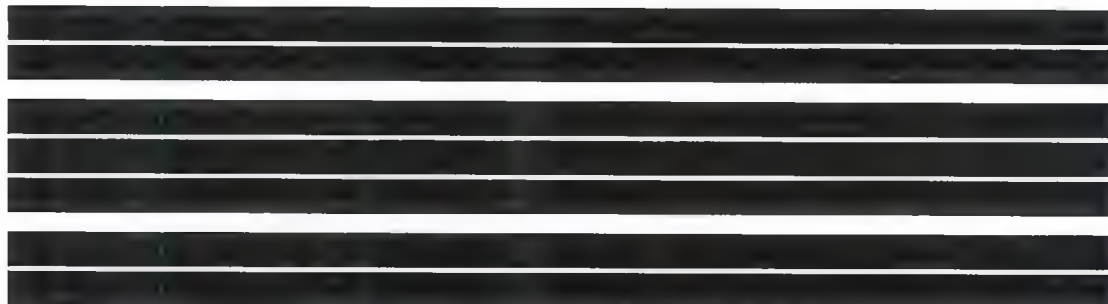
The image shows a table with a large blacked-out area covering most of the content. The table has a grid structure with multiple rows and columns. The right-hand side of the table is partially visible, showing some white bars and grid lines. The blacked-out area is a solid black rectangle that obscures the text and data within the table cells.

## **SPIS TABEL**

[Redacted content]

[Redacted content]

## **SPIS RYCIN**





## PIŚMIENNICTWO

- <sup>1</sup> Milsom I, Abrams P, Cardozo L et al. How widespread are the symptoms of an overactive bladder and how are they managed? A population-based prevalence study. *BJU Int.* 2001 Jun;87(9):760-6.
- <sup>2</sup> Abrams P. Describing bladder storage function: overactive bladder syndrome and detrusor overactivity. *Urology.* 2003;62(5 Suppl 2):28-37.
- <sup>3</sup> Stewart WF, Van Rooyen JB, Cundiff GW, et al. 2003. Prevalence and burden of overactive bladder in the United States. *World J Urol* 20:327-36.
- <sup>4</sup> Manack A, Motsko SP, Jones JK et al. Epidemiology of neurogenic bladder patients in a US claims database. Poster presented American Urology Association Conference; April 2009.
- <sup>5</sup> Projekt programu lekowego leczenia nietrzymania moczu o podłożu neurogennym.
- <sup>6</sup> Główny Urząd Statystyczny. Ludność - bilans opracowany w oparciu o wyniki NSP 2011. Stan w dniu 31.12.2011. [http://www.stat.gov.pl/gus/5840\\_13399\\_PLK\\_HTML.htm](http://www.stat.gov.pl/gus/5840_13399_PLK_HTML.htm).
- <sup>7</sup> Stanowisko Rady Konsultacyjnej nr 37/12/2010 z dnia 24 maja 2010 r. w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia „leczenie stwardnienia rozsianego przy wykorzystaniu produktu leczniczego natalizumab (Tysabri®)” w ramach programu zdrowotnego NFZ, jako świadczenia gwarantowanego [http://www.aotm.gov.pl/assets/files/rada/rekomendacje\\_stanowiska/2010/R28-2010-stwardnienie\\_rozsiane/Stanowisko\\_RK\\_AOTM\\_37\\_12\\_2010\\_natalizumab\\_Tysabri.pdf](http://www.aotm.gov.pl/assets/files/rada/rekomendacje_stanowiska/2010/R28-2010-stwardnienie_rozsiane/Stanowisko_RK_AOTM_37_12_2010_natalizumab_Tysabri.pdf)
- <sup>8</sup> Ministerstwo Zdrowia. Narodowy Program Leczenia Chorych ze stwardnieniem rozsianym na lata 2006-2008; [http://www.mz.gov.pl/wwwfiles/ma\\_struktura/docs/zalacznik\\_r\\_22.pdf](http://www.mz.gov.pl/wwwfiles/ma_struktura/docs/zalacznik_r_22.pdf) [stan na 10.03.2013].
- <sup>9</sup> Lobinska A, Stelmasiak Z. Wybrane epidemiologiczne aspekty stwardnienia rozsianego w populacji miasta Lublina. *Neurologia i neurochirurgia polska* 2004;38(5):361-66.
- <sup>10</sup> Wender M, Kowal P, Pruchnik-Grabowska D, Hertmanowska H, Marcinkowski J, Zielinska M, et al. The clustering of multiple sclerosis in various administrative subunits of western Poland. *J Neurol* 1985;232(4):240-5.
- <sup>11</sup> Wender M, Pruchnik-Grabowska D, Hertmanowska H, Kowal P, Zielinska M, Namysl I, et al. Epidemiology of multiple sclerosis in western Poland--a comparison between prevalence rates in 1965 and 1981. *Acta Neurol Scand* 1985;72(2):210-7.
- <sup>12</sup> Cendrowski WS. Ethnic Aspects of Multiple Sclerosis in Central and Northern Poland. *J Neurol Sci* 1964;64:390-3.
- <sup>13</sup> Potemkowski A, Walczak A, Nocon D, Fabian A, Nowacki P. Epidemiological analysis of multiple sclerosis in the Szczecin region, north-western part of Poland (1960-1992). In: Finrnhaber W, Lauer K, Neurologie DGf, editors. Multiple sclerosis in Europe: an epidemiological update - proceedings of the International Symposium "The Epidemiology of Multiple Sclerosis in Europe - An Update". Darmstadt: Leuchtturm-Verlag/LTV Press, 1994: 249-54.
- <sup>14</sup> Potemkowski A. Analiza epidemiologiczna stwardnienia rozsianego w województwie szczecińskim: ocena zachorowalności i chorobowości w latach 1993-1995. *Neurologia i Neurochirurgia Polska* 1999;33:575-85.

- <sup>15</sup> Cendrowski WS. Multiple sclerosis in a small urban community in central Poland. *J Neurol Sci* 1965;2(1):82-6.
- <sup>16</sup> Zaborski J, Członkowska A. Stwardnienie rozsiane – próby leczenia aktywnych postaci. *Terapia* 2000; 96: 41-47.
- <sup>17</sup> [http://www.who.int/mental\\_health/neurology/Atlas\\_MS\\_WEB.pdf](http://www.who.int/mental_health/neurology/Atlas_MS_WEB.pdf) [dostęp 11.01.2013]
- <sup>18</sup> Opinia prof. Kiwerskiego. <http://www.niepelnosprawni.pl/ledge/x/1272>.
- <sup>19</sup> Kiwerski 2005. Epidemiologia urazów kręgosłupa. *Prewencja i rehabilitacja* nr 3 (9), 2005.
- <sup>20</sup> Rosińczuk-Tonderys J, et al. Spine and Spinal Cord Injuries – Causes and Complications. *Adv Clin Exp Med* 2012, 21, 4, 477–485.
- <sup>21</sup> Mahajan ST, Patel PB, Marrie RA. Under treatment of overactive bladder symptoms in patients with multiple sclerosis: an ancillary analysis of the NARCOMS Patient Registry. *J Urol*. 2010 Apr;183(4):1432-7.
- <sup>22</sup> de Sèze M, Ruffion A, Denys P et al. The neurogenic bladder in multiple sclerosis: review of the literature and proposal of management guidelines. *Mult Scler*. 2007 Aug;13(7):915-28.
- <sup>23</sup> Jeong SJ, Cho SY, Oh SJ. Spinal cord/brain injury and the neurogenic bladder. *Urol Clin North Am*. 2010 Nov;37(4):537-46.
- <sup>24</sup> opinia ██████████  
██████████ uzyskana w trakcie bezpośrednich konsultacji w dniu 11.06.2013, w Klinice Urologii.
- <sup>25</sup> Manack A, Motsko SP, Haag-Molkenteller C, Dmochowski RR, Goehring EL Jr, Nguyen-Khoa BA, Jones JK. Epidemiology and healthcare utilization of neurogenic bladder patients in a US claims database. *NeuroUrol Urodyn*. 2011 Mar;30(3):395-401.
- <sup>26</sup> Opinia eksperta klinicznego ██████████ udzielona telefonicznie w czerwcu 2013 r.
- <sup>27</sup> Allergan. Quantification of the market opportunity for BOTOX in OAB. Forecast review and survey outcomes. 2008. Data on file.
- <sup>28</sup> Charakterystyka Produktu Leczniczego BOTOX®  
[http://www.urpl.gov.pl/system/drugs/dki/charakterystyka/2011-08-05\\_SmPC%20Botox%20100U%20%28migrena%29%202011\\_03P.pdf](http://www.urpl.gov.pl/system/drugs/dki/charakterystyka/2011-08-05_SmPC%20Botox%20100U%20%28migrena%29%202011_03P.pdf)  
[dostęp 16.04.2013]
- <sup>29</sup> Komunikaty NFZ. Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń-grudzień 2012) <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2&artnr=5514> [data dostępu 02.07.2013]
- <sup>30</sup> Stanowisko nr 23/07/2009 z dnia 30 marca 2009 r. w sprawie finansowania toksyny botulinowej typu A (Botox®, Dysport®) w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu. [http://www.aotm.gov.pl/assets/files/rada/stanowisko\\_RK\\_23\\_07\\_2009\\_toksyna\\_botulinowa\\_Botox\\_Dysport.pdf](http://www.aotm.gov.pl/assets/files/rada/stanowisko_RK_23_07_2009_toksyna_botulinowa_Botox_Dysport.pdf) [dostęp 23.06.2013]
- <sup>31</sup> Projekt programu lekowego. Profilaktyka przewlekłej migreny.
- <sup>32</sup> Panel ekspertów zorganizowany przez zleceniodawcę w dniu 10 maja 2011 r. W spotkaniu wzięli udział ██████████.
- <sup>33</sup> Główny Urząd statystyczny. Rocznik Demograficzny. Warszawa 2012
- <sup>34</sup> Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 24 czerwca 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2013 r.

- <sup>35</sup> Załącznik 1 do Zarządzenia Nr 19/2013/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 kwietnia 2013 r.
- <sup>36</sup> Załącznik 5a do Zarządzenia 71/2012/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 13 listopada 2012 r.
- <sup>37</sup> Cruz F, Herschorn S, Aliotta P et al. Efficacy and safety of onabotulinumtoxinA in patients with urinary incontinence due to neurogenic detrusor overactivity: a randomised, double-blind, placebo-controlled trial. *Eur Urol.* 2011 Oct;60(4):742-50.
- <sup>38</sup> Ginsberg D, Gousse A, Keppenne V et al. Phase 3 efficacy and tolerability study of onabotulinumtoxinA for urinary incontinence from neurogenic detrusor overactivity. *J Urol.* 2012 Jun;187(6):2131-9.
- <sup>39</sup> Raport STUDIO PR na zlecenie World Federation of Incontinent Patients. Wpływ NTM na koszty społeczno-ekonomiczne w Polsce. Czerwiec 2012 [http://www.ntm.pl/upload/file/Raport\\_NTM%20w%20Polsce.pdf](http://www.ntm.pl/upload/file/Raport_NTM%20w%20Polsce.pdf) [dostęp: 10.06.2013].
- <sup>40</sup> Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne będące przedmiotami ortopedycznymi oraz środki pomocnicze. Załącznik nr 2.
- <sup>41</sup> Opinia eksperta klinicznego ██████████ przesłana drogą elektroniczną 31 maja 2013 r.
- <sup>42</sup> ██████████ Toksyna botulinowa typu A (BOTOX®) w leczeniu nietrzymania moczu o podłożu neurogennym. Analiza problemu decyzyjnego. HealthQuest 2013.
- <sup>43</sup> Giannantoni A, Mearini E, Del Zingaro M, Porena M. Six-year follow-up of botulinum toxin A intradetrusorial injections in patients with refractory neurogenic detrusor overactivity: clinical and urodynamic results. *Eur Urol.* 2009 Mar;55(3):705-11.
- <sup>44</sup> Kalsi V, Gonzales G, Popat R, Apostolidis A, Elneil S, Dasgupta P, Fowler CJ. Botulinum injections for the treatment of bladder symptoms of multiple sclerosis. *Ann Neurol.* 2007 Nov;62(5):452-7.
- <sup>45</sup> O'Leary M, Erickson JR, Smith CP, McDermott C, Horton J, Chancellor MB. Effect of controlled-release oxybutynin on neurogenic bladder function in spinal cord injury. *J Spinal Cord Med.* 2003 Summer;26(2):159-62.
- <sup>46</sup> Sievert KD, Heesakkers J, Ginsberg D, Cruz F, Jenkins B, Thompson C, Lam W, Haag-Molkenteller C. Efficacy of onabotulinumtoxinA in neurogenic detrusor overactivity is independent of concomitant anticholinergic use. *European Urology Supplements* 2012;11(1):e461.
- <sup>47</sup> Dane NFZ dotyczące liczby zrefundowanych opakowań.
- <sup>48</sup> Rollnik JD, Matzke M, Wohlfarth K, et al. Low-dose treatment of cervical dystonia, blepharospasm and facial hemispasm with albumin-diluted botulinum toxin type A under EMG guidance. *Eur Neurol* 2000;43:9-12.