



IGNORANTIA NOCET

**NPLATE[®] (ROMIPLOSTYM) W LECZENIU
DOROSŁYCH CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ
PIERWOTNĄ MAŁOPŁYTKOWOŚĆ
IMMUNOLOGICZNĄ, U KTÓRYCH WYKONANO
SPLENEKTOMIĘ I KTÓRZY WYKAZUJĄ
NIEDOSTATECZNĄ ODPOWIEDŹ NA INNE
SPOSOBY LECZENIA**

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA
Wersja 1.0

Wykonawca:

MAHTA Sp. z o.o.
ul. Rejtana 17/5
02 - 516 Warszawa
Tel. 22 542 41 54
E-mail: biuro@mahta.pl

Przygotowano dla:

[REDACTED]

Warszawa, 31 stycznia 2014

[REDACTED]

MAHTA Sp. z o.o.

Warszawa 02-516
ul. Tadeusza Rejtana 17

zarejestrowana w Sądzie
Rejonowym dla m.st. Warszawy,
XIII Wydział Gospodarczy
Krajowego Rejestru Sądowego

KRS: 0000331173
NIP: 521-352-90-98
REGON: 141874221

Kapitał zakładowy:
5 000,00 PLN
opłacony w pełnej wysokości

nr rachunku bankowego:
mBank
35 1140 2017 0000 4702 1008 6223

Autorzy	Wykonywane zadania
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none"> ⊗ Koncepcja analizy; ⊗ Kontrola jakości;
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none"> ⊗ Zdefiniowanie populacji; ⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy; ⊗ Kontrola jakości;
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none"> ⊗ Zdefiniowanie populacji; ⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej; ⊗ Aspekty etyczne i społeczne ⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy; ⊗ Ocena kosztów; ⊗ Wnioski końcowe

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez [REDACTED]

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy [REDACTED], która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie	6
1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....	9
2. Analiza wpływu na budżet	9
2.1. Metodyka analizy	9
2.2. Horyzont czasowy	10
2.3. Perspektywa	11
2.4. Scenariusze porównywane	11
2.5. Populacja.....	14
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	14
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku.....	17
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	22
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	22
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	23
2.6. Analiza kosztów	24
2.6.1. Liczba cykli leczenia	25
2.6.2. Koszt leków	26
2.6.3. Koszt przepisania i podania leków.....	31
2.6.4. Koszt monitorowania i oceny skuteczności leczenia	33
2.6.5. Koszty leczenia krwawień.....	35
2.6.6. Podsumowanie kosztów	38
2.7. Podsumowanie danych wejściowych	45

2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy	47
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe	47
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe	48
3. Analiza wrażliwości	53
4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych	57
5. Aspekty etyczne i społeczne	57
6. Założenia i ograniczenia	59
7. Podsumowanie i wnioski końcowe	60
8. Załączniki	62
8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej	62
8.2. Kryteria włączenia, wykluczenia oraz zakończenia udziału w projekcie programu lekowego, uwzględniającym technologię wnioskowaną	62
8.3. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	63
8.4. Liczba opakowań technologii wnioskowanej	65
9. Spis tabel	66
10. Spis rysunków	68
11. Bibliografia.....	69

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
CHB	cena hurtowa brutto
IVIg	ang. <i>intravenous immunoglobulins</i> – dożylna immunoglobulina
JGP	Jednorodne Grupy Pacjentów
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NICE	ang. <i>National Institute for Health and Clinical Excellence</i> – Narodowy Instytut Zdrowia i Doskonałości Klinicznej zajmujący się oceną technologii medycznych w Wielkiej Brytanii
WHO	ang. <i>World Health Organisation</i> – Światowa Organizacja Zdrowia

Streszczenie

CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych romiplostymu (Nplate[®]) w leczeniu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej w ramach *Wykazu leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej: lek stosowany w ramach programu lekowego (*Program lekowy leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej*).

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

METODYKA

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego (NFZ) i pacjenta) oraz z perspektywy płatnika publicznego. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od stycznia 2015 do grudnia 2016 roku.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej stanowią dorośli chorzy na pierwotną małopłytkowość immunologiczną, u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia. Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie wpływu na budżet rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której romiplostym nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym, chorzy otrzymują leczenie ratunkowe. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której romiplostym stosowany w leczeniu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej będzie finansowany ze środków publicznych w ramach *Wykazu leków refundowanych* w kategorii dostępności: lek stosowany w ramach programu lekowego.

[REDACTED]

Całkowite koszty (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: kosztu leków, kosztu monitorowania i oceny skuteczności leczenia, kosztu związanego z przepisaniem i podaniem leków oraz kosztu leczenia krwawień w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej. Koszty wynikające z zastosowania poszczególnych schematów postępowania terapeutycznego przyjęto na podstawie wyników przeprowadzonej *Analizy ekonomicznej*.

Koszty jednostkowe technologii wnioskowanej przyjęto na podstawie informacji uzyskanych od Zamawiającego.

Wydatki płatnika publicznego (i łączne wydatki płatnika publicznego i pacjentów) określono w sytuacji braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych w uwzględnianym wskazaniu, to jest w przypadku utrzymania obecnej sytuacji na rynku (scenariusz istniejący), a także po uwzględnieniu zakładanego sposobu refundowania technologii wnioskowanej (scenariusz nowy). Finalnie wyznaczono inkrementalne wydatki płatnika publicznego (oraz płatnika publicznego i pacjentów), czyli różnicę pomiędzy scenariuszem prognozowanym (nowym) a scenariuszem istniejącym. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

W ramach analizy przeprowadzono analizę wrażliwości zakładającą zmienność: [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

WYNIKI

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wydatki inkrementalne

[Redacted text block]

Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy płatnika publicznego.

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu romiplostymu (Nplate[®]) do nowego *Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4].

[Redacted text block]

Podkreślić również należy, że finansowanie romiplostymu przyczyni się do zwiększenia skuteczności leczenia chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną, u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia, a tym samym do poprawy sytuacji chorych, gdyż obecnie poza nierefundowanym eltrombopagiem nie ma dla nich alternatywnego leczenia stałego. [Redacted]

[Redacted text block]

1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych romiplostymu (Nplate[®]) w leczeniu dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną, u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia w ramach *Wykazu leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej lek stosowany w ramach programu lekowego (*Program lekowy leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej*).

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych romiplostymu (Nplate[®]) w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel 2010, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń.




2. Analiza wpływu na budżet

2.1. Metodyka analizy

1. Zdefiniowano populację docelową dla technologii wnioskowanej na podstawie odnalezionych źródeł danych:

- ⊗ [redacted]
- ⊗ [redacted]
- ⊗ [redacted]
- ⊗ [redacted]
- ⊗ [redacted]
- ⊗ [redacted]

⊕

2. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej.
3. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych (leczenie ratunkowe).
4. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
5. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
6. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. 


7. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
8. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla oszacowania populacji docelowej oraz kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.

2.2. Horyzont czasowy

Zgodnie z *Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM)* oraz *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań* (zwanym dalej *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań*), horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się

stanu równowagi, ale nie mniej niż pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych [1, 15].

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od stycznia 2015 do grudnia 2016 roku

[REDACTED]

2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnym wymagań (Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu)*, dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy wpływu na budżet, analiza została przeprowadzona w dwóch wariantach:

- ⊕ 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 [17])
- ⊕ oraz z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta) [15].

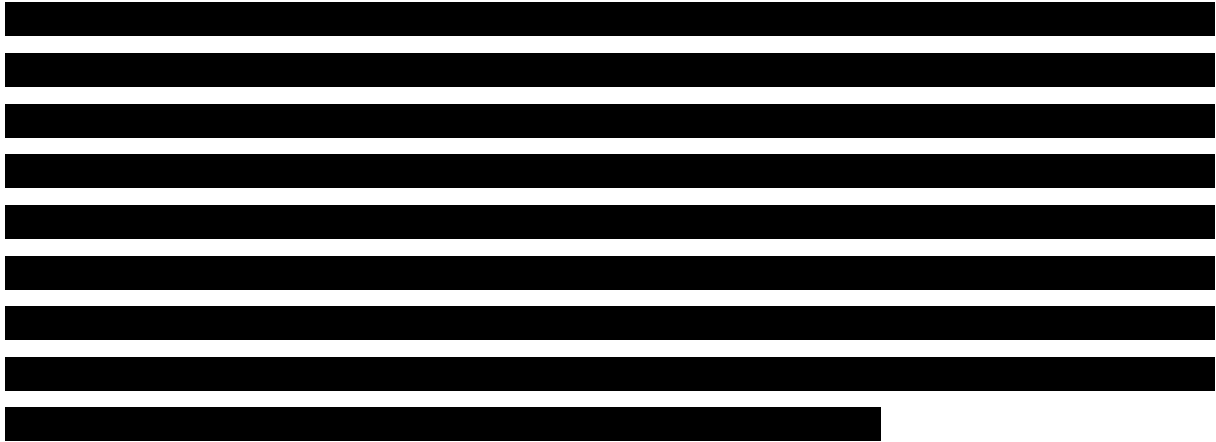
2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz scenariusz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której technologia wnioskowana nie jest refundowana w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego (na podstawie *Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 23 grudnia 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 stycznia 2014 r.*, zwanego dalej *Obwieszczeniem MZ w sprawie wykazu leków refundowanych* [13]).

W scenariuszu tym, chorzy otrzymują jedynie leczenie ratunkowe, gdyż u chorych z pierwotną małopłytkowością immunologiczną dochodzi czasem do sytuacji klinicznych, w których konieczne jest szybkie zwiększenie liczby płytek krwi. Do takich zagrażających życiu chorego sytuacji klinicznych, kiedy należy doprowadzić do wzrostu liczby płytek w ciągu 24 h, należą: konieczność wykonania zabiegu operacyjnego, duże ryzyko wystąpienia krwawienia lub wystąpienie krwawienia do centralnego układu nerwowego, przewodu pokarmowego lub układu moczowo-płciowego [25]. Lekami ratunkowymi są leki, których celem jest zwiększenie liczby płytek krwi. Zaleca się stosowanie dożylnych immunoglobulin lub kortykosteroidów [19]. Leki ratunkowe, wykorzystywane w polskiej praktyce klinicznej, a więc brane pod uwagę w niniejszej analizie wskazano w rozdziale 2.6.2.1.

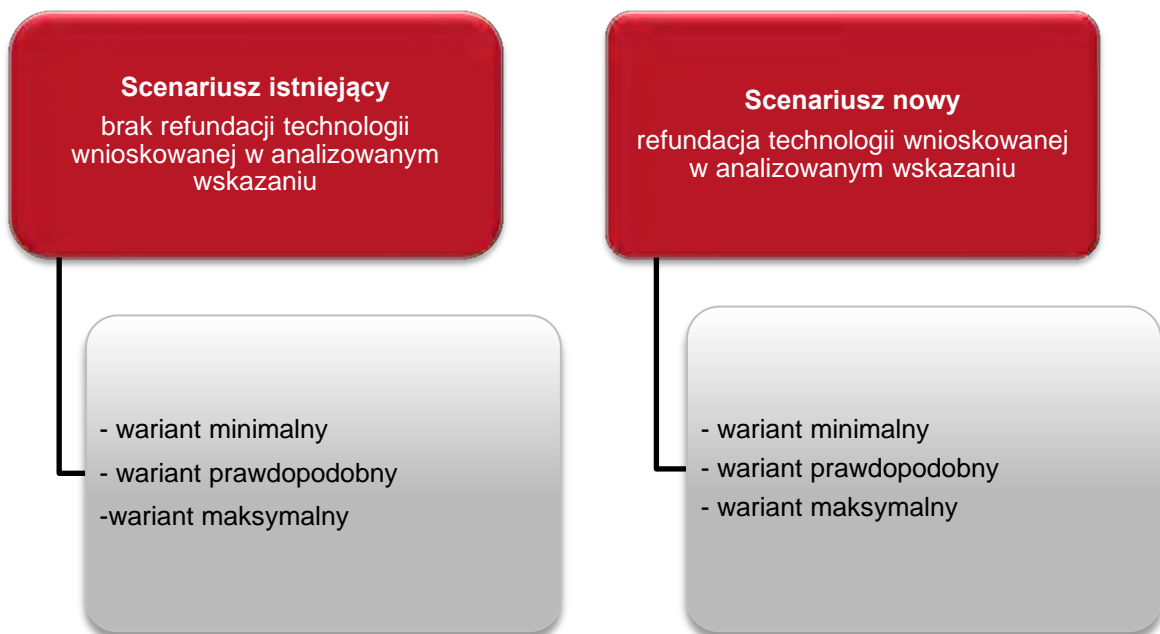
W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej w ramach nowego *Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4]. W scenariuszu tym chorzy leczeni są romiplostymem oraz, gdy to konieczne, otrzymują leczenie ratunkowe. W przypadku braku odpowiedzi na romiplostym chorzy otrzymują leczenie ratunkowe (w związku z brakiem innych sposobów leczenia chorych). W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.).





Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata, wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami. Analizowane scenariusze (istniejący, nowy) oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

Rysunek 1.
Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet



Źródło: opracowanie własne

2.5. Populacja

2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Zgodnie z *Wytycznymi AOTM* populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana [1]. Zgodnie z *Charakterystyką Produktu Leczniczego Nplate®* [3], romiplostym wskazany jest w leczeniu:

- ⊗ dorosłych chorych na przewlekłą małopłytkowość immunologiczną (idiopatyczną), u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami);
- ⊗ drugiego rzutu u dorosłych chorych, u których nie wykonano splenektomii, gdyż operacja ta jest u nich przeciwwskazana.

Wielkość populacji, w której wnioskowana technologia może być stosowana określono na podstawie danych pochodzących: z opracowania [1]

[REDACTED]

1 [REDACTED]

[Redacted content]

Liczbę chorych kwalifikujących się do leczenia romiplostymem na poszczególnych etapach choroby w horyzoncie analizy przedstawiono w poniższej tabeli.

2 [Redacted content]

Tabela 1.

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

Całkowitą liczbę chorych (suma liczby chorych z powyższej tabeli), u których technologia może być zastosowana przedstawiono w poniższej tabeli. Oszacowania te mają jednak charakter wyłącznie informacyjny i nie były brane pod uwagę w obliczeniach analizy wpływu na budżet.

Tabela 2.

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

2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

W celu oszacowania populacji docelowej, posłużono się kryteriami włączenia i wyłączenia chorych z *projektu nowego Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4], wskazanymi w załączniku (rozdział 8.2). Populację docelową stanowią więc dorośli chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną, u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia.

Zgodnie z jednym z kryteriów włączenia chorych do *nowego Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4], wskazanymi w załączniku (rozdział 8.2.), do leczenia romiplostymem kwalifikują się chorzy po splenektomii, którzy nie odpowiedzieli na wcześniej zastosowane leczenie farmakologiczne. W rozdziale 2.5.1 wyznaczono populację chorych po splenektomii, nieodpowiadających na leczenie kortykosteroidami. W celu oszacowania odsetka chorych kwalifikujących się do leczenia romiplostymem należało wyznaczyć liczbę kolejnych linii leczenia oraz prawdopodobieństwo braku odpowiedzi na każdą z nich.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted table content]

Tabela 3.

[Redacted text]

⁴ [Redacted footnote text]

[Redacted text block]

Tabela 4.

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

Tabela 5.

[Redacted text block]

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

[Redacted]

[Redacted] 5
[Redacted]
[Redacted]

Tabela 6.

[Redacted]

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

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

Tabela 7.

[Redacted]

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

Tabela 8.

[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 text block]

2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana

[Redacted text block]

2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją

Niniejsza analiza wpływu na budżet bazuje na kryteriach:

- włączenia,
- wyłączenia chorych

z projektu nowego *Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4], wskazanymi w załączniku (rozdział 8.2).

Biorąc pod uwagę wskazane kryteria włączenia i wyłączenia chorych z projektu nowego *Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4]. oraz na podstawie aktualnego schematu leczenia chorych w analizowanym wskazaniu oszacowano udziały w rynku technologii wnioskowanej.

2.5.4.1. Udziały w rynku

Lek Nplate® (romiplostym) nie posiada obecnie refundowanego komparatora w ramach *Obwieszczenia MZ w sprawie wykazu leków refundowanych* [13].



2.5.4.2. Oszacowanie wielkości populacji chorych leczonych technologią wnioskowaną

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji romiplostymu, lek ten nie będzie stosowany.

2.6. Analiza kosztów

Kategorie kosztów zaczerpnięto z *Analizy ekonomicznej* [6]. Zauważyć tutaj należy, że wpływ na wynik końcowy, a więc na wartość wydatków inkrementalnych płatnika publicznego, mają całkowite koszty różniące. Całkowite koszty różniące należy tutaj zdefiniować jako koszty występujące w ramach jednego ze scenariuszy, a więc różniące oceniane technologie medyczne.

W analizie z perspektywy płatnika publicznego uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztów bezpośrednich medycznych:

- ⊗ koszty leków;
- ⊗ koszty przepisania i podania leków;
- ⊗ koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia;
- ⊗ koszty leczenia krwawień.

W analizie wykonanej z perspektywy wspólnej uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztów:

- ⊗ koszty leków;
 - ⊗ koszty przepisania i podania leków;
 - ⊗ koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia;
 - ⊗ koszty leczenia krwawień.
-

Pozostałe kategorie kosztów bezpośrednich uznano za nieróżniące zaliczając je do kategorii kosztów wspólnych. Koszty te (jako koszty wspólne dla technologii wnioskowanej i komparatora) nie mają wpływu na wyniki analizy. Nie były zatem ostatecznie brane pod uwagę w obliczeniach. W poniższej tabeli (Tabela 9.) wyszczególniono poszczególne koszty nieróżniące oraz przedstawiono zasadność kwalifikacji do kategorii kosztów nieróżniących.

Tabela 9.
Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne

Kategoria kosztowa	Uzasadnienie kwalifikacji
Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych	W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania terapii w <i>Analizie klinicznej</i> [5] nie wykazano różnic pomiędzy technologią ocenianą, a brakiem jej stosowania w zakresie ciężkich działań niepożądanych. Wykazano jedynie różnice w zakresie lekkich działań niepożądanych, najprawdopodobniej niewymagających leczenia, gdy znana jest przyczyna ich występowania.

Zródło: opracowanie własne

2.6.1.Liczba cykli leczenia

	6

[Redacted text block]

Tabela 10.

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

2.6.2. Koszt leków

2.6.2.1. Dawkowanie leków

ROMIPILOSTYM

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 11.

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted text block]

Tabela 12.

[Redacted]

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

[Redacted]

LEKI STOSOWANE W RAMACH LECZENIA RATUNKOWEGO

[Redacted]

⊕ [Redacted]
[Redacted]
[Redacted]

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

[Redacted]
[Redacted]

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

[Redacted]

Tabela 13.

[Redacted]

PODSUMOWANIE

Tabela 14.

2.6.2.2.Ceny leków

ROMIPILOSTYM

Obecnie lek nie jest finansowany w analizowanym wskazaniu. Niniejsza analiza dotyczy opłacalności stosowania romiplostymu w leczeniu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej w ramach nowego *Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4]. W analizie uwzględniono finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1. Rozważono poziom odpłatności leku, zgodny z zapisami *Ustawy o refundacji*, tj. lek wydawany bezpłatnie [18].

Tabela 17.

2.6.3. Koszt przepisania i podania leków

ROMIPILOSTYM

Tabela 18.

--

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

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

Tabela 19.

[Redacted]

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

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

LEKI STOSOWANE W LECZENIU RATUNKOWYM

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 20.

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

Tabela 21.

[Redacted text block]

Tabela 23.

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

LEKI STOSOWANE W LECZENIU RATUNKOWYM

[Redacted text block]

Tabela 24.

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

2.6.5. Koszty leczenia krwawień

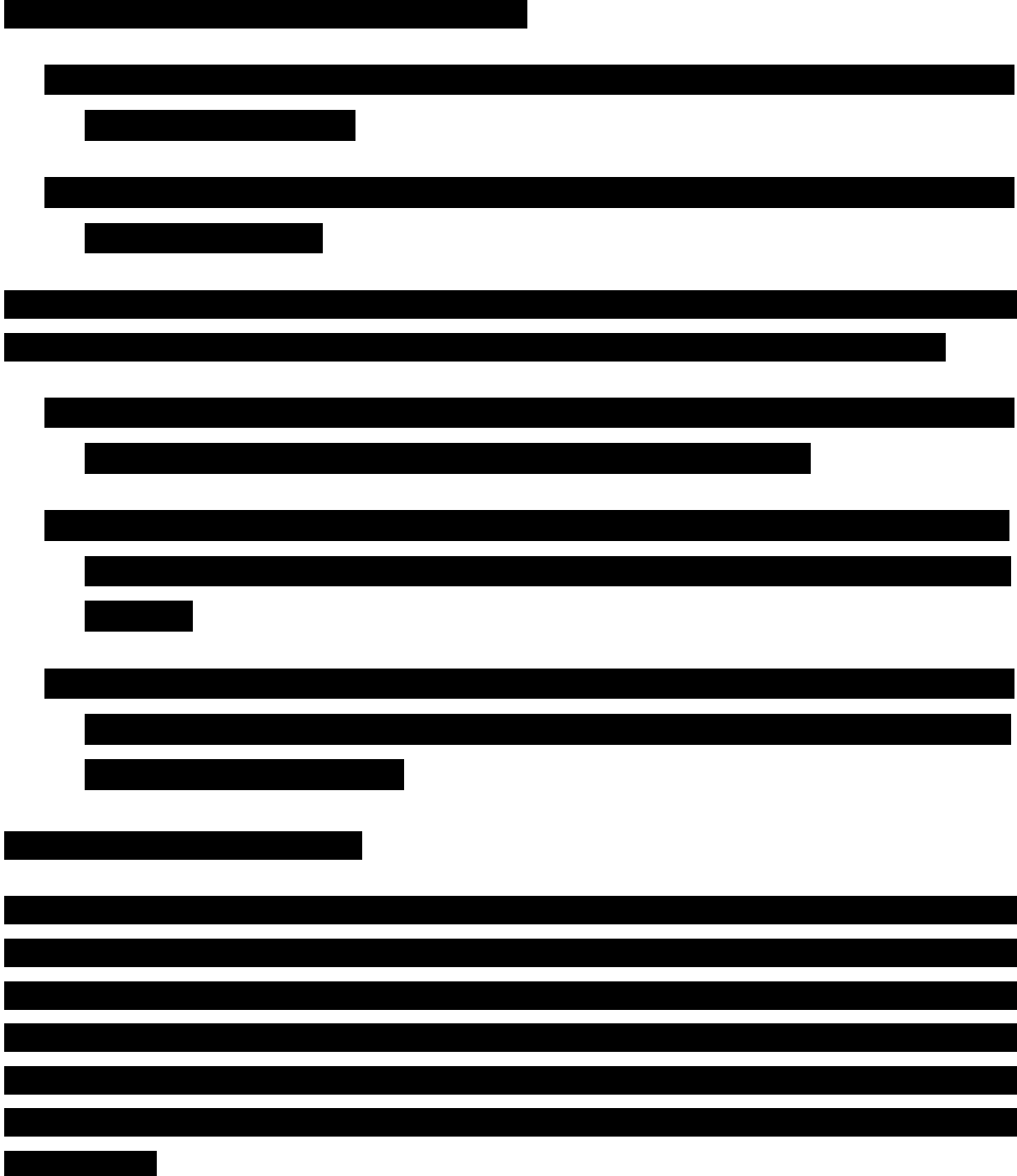


Tabela 25.



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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 26.

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 27.

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-	-	-

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 28.

[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]

Tabela 29.

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

Tabela 30.

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

2.6.6. Podsumowanie kosztów

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 31.

[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 text block]

[Redacted text block]

Tabela 32.

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

Tabela 33.

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

Tabela 34.

[Redacted text]

Tabela 35.

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

2.7. Podsumowanie danych wejściowych

[Redacted text]

Tabela 37.

[Redacted text]

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



2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

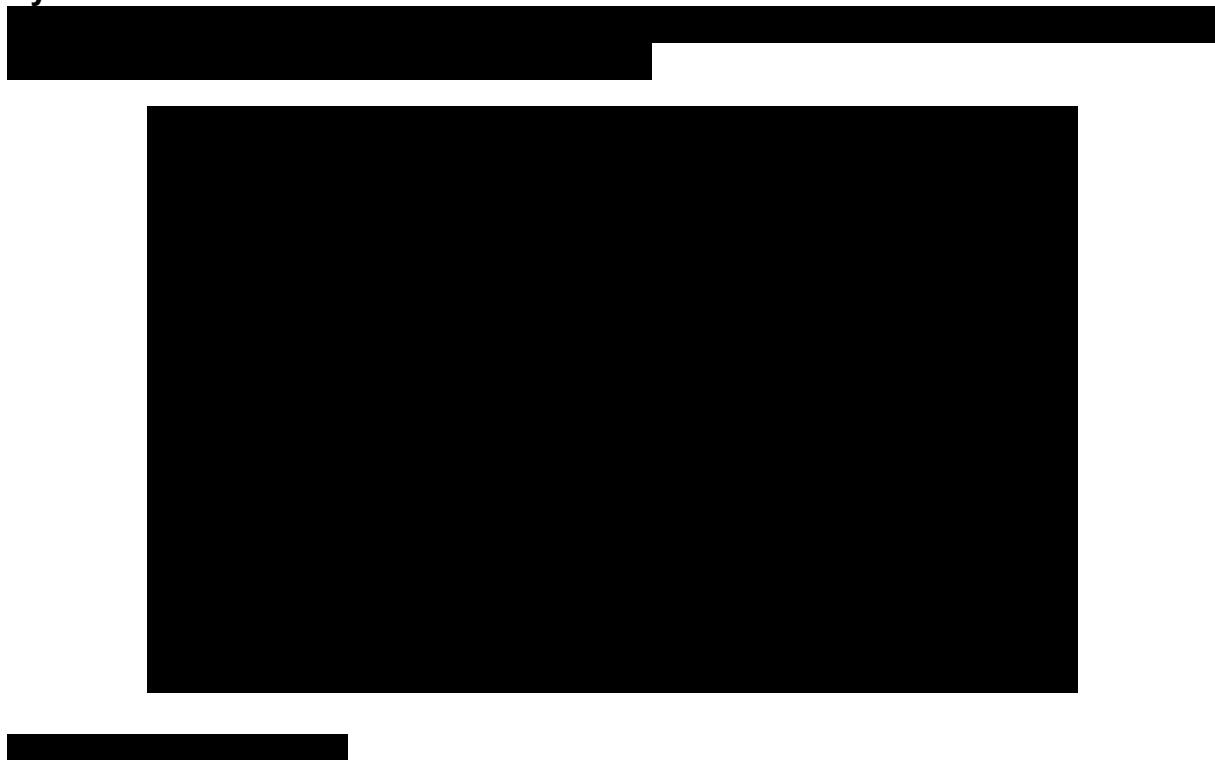
Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego i wspólnej. Dodatkowo wyniki przedstawiono w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

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

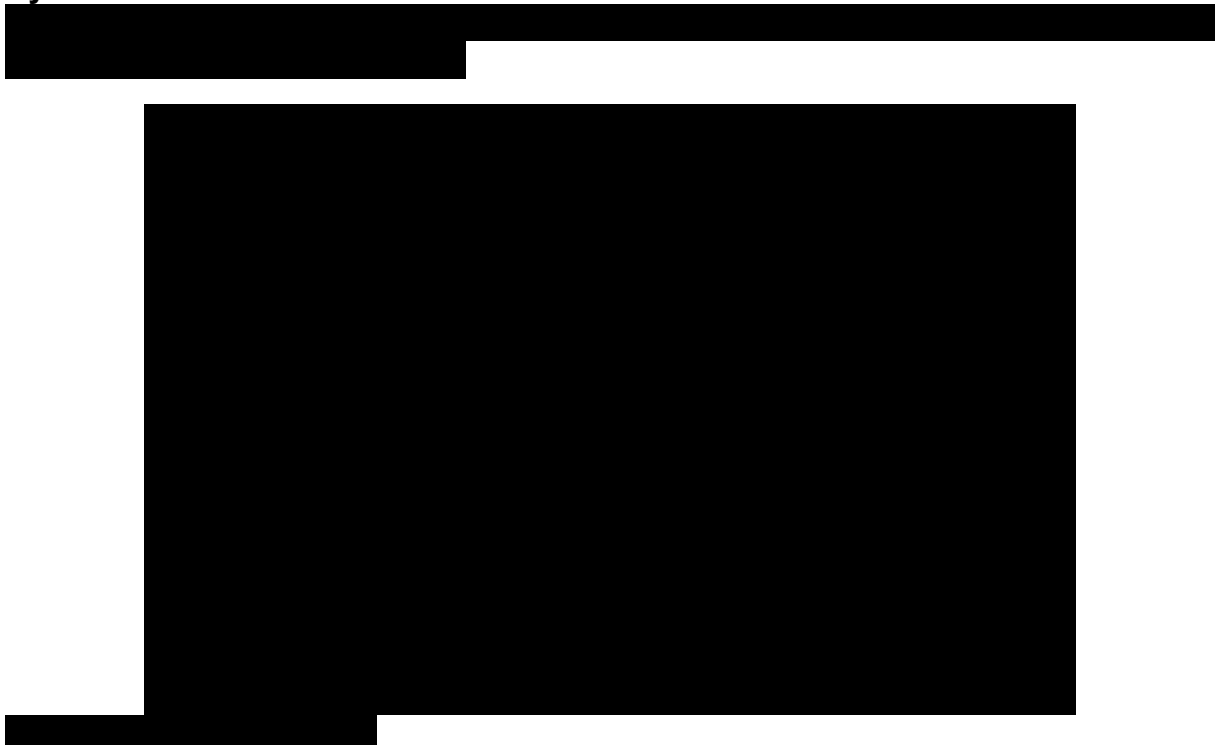
[REDACTED]

[Redacted text block]

Rysunek 2.



Rysunek 3.



3. Analiza wrażliwości

Parametry uwzględnione w analizie wrażliwości oraz zakres ich zmienności i źródła danych przedstawiono w poniższej tabeli.

Parametry uwzględnione w analizie wrażliwości oraz zakres ich zmienności i źródła danych przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 40.

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

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja dotycząca refundacji produktu Nplate® (romiplostym) w leczeniu chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną, w ramach nowego *Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4], nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń zdrowotnych.

W związku z powyższym, w wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

5. Aspekty etyczne i społeczne

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Nplate® w ramach nowego *Programu lekowego leczenia pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10 D 69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej* [4], dotyczy wyłącznie chorych kwalifikujących się do programu lekowego, a zatem pacjentów spełniających wszystkie kryteria włączenia, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

Analiza skuteczności romiplostymu względem nie stosowania stałego leczenia wykazała jego znamienne przewagę dla kluczowych efektów zdrowotnych. W zakresie profilu bezpieczeństwa stwierdzono, że stosowanie romiplostymu względem braku stosowania ciągłej terapii powoduje zmniejszenie częstości występowania epizodów związanych z krwawieniem. [5]

Pozytywna decyzja dotycząca finansowania technologii wnioskowanej, nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia. Ponadto decyzja ta przyczyni się do zwiększenia skuteczności leczenia, a tym samym do poprawy sytuacji chorych

w analizowanym wskazaniu, gdyż obecnie poza nierefundowanym eltrombopagiem nie ma dla nich alternatywnego leczenia.

Poniższa tabela (Tabela 43.) przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

Tabela 43.
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
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

6. Założenia i ograniczenia

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy dążono do dokonania oceny wpływu na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu romiplostymu (Nplate®) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności lek stosowany w ramach programu lekowego.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy płatnika publicznego.

Finansowanie romiplostymu w ramach kategorii dostępności lek stosowany w ramach programu lekowego, przyczyni się do zwiększenia skuteczności leczenia chorych na

pierwotną małopłytkowość immunologiczną, u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia, a tym samym do poprawy sytuacji chorych, gdyż obecnie poza nierefundowanym eltrombopagiem nie ma dla nich alternatywnego leczenia.

8. Załączniki

8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej

[Redacted text block]

[Redacted text block]

8.2. Kryteria włączenia, wykluczenia oraz zakończenia udziału w projekcie programu lekowego, uwzględniającym technologię wnioskowaną

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

⊕ [Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

8.3. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań*

Tabela 44.
Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi

wymaganiami przedstawionymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
1.	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	TAK
1.1.	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK, rozdział 2.5.1.
1.2.	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK, rozdział 2.5.2.
1.3.	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK, rozdział 2.5.3.
1.4.	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.5.4.
2.	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
2.1.	Aktualnych	TAK, rozdział 2.8.1.
2.2.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje	TAK, rozdział 2.8.1.
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.
8.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7.
9.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 5.
9.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia	TAK, rozdział 5.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
	podstawy limitu	
10.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
12.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	TAK
13.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach <ul style="list-style-type: none"> z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka), bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka 	NIE, w analizie nie uwzględniono instrumentów dzielenia ryzyka
13.1.	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej) w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej) 	TAK, rozdział 8.2.

Źródło: opracowanie własne na podstawie *Rozporządzenia MZ w sprawie minimalnych wymagań*

8.4. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

Tabela 45.

Określenie rocznej wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku

Źródło: opracowanie własne

9. Spis tabel

Tabela 1.	16
Tabela 2.	17
Tabela 3.	18
Tabela 4.	19
Tabela 5.	20
Tabela 6.	21
Tabela 7.	21
Tabela 8.	22
Tabela 9. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne	25
Tabela 10.	26
Tabela 11.	27
Tabela 12.	27
Tabela 13.	28
Tabela 14.	29
Tabela 15.	30
Tabela 16.	30
Tabela 17.	31
Tabela 18.	31
Tabela 19.	32
Tabela 20.	33
Tabela 21.	33
Tabela 22.	34

Tabela 23.	34
Tabela 24.	35
Tabela 25.	36
Tabela 26.	36
Tabela 27.	37
Tabela 28.	37
Tabela 29.	38
Tabela 30.	38
Tabela 31.	39
Tabela 32.	40
Tabela 33.	40
Tabela 34.	41
Tabela 35.	42
Tabela 36.	43
Tabela 37.	45
Tabela 38.	49
Tabela 39.	50
Tabela 40.	53
Tabela 41.	55
Tabela 42.	56
Tabela 43.	Aspekty społeczne i etyczne	58
Tabela 44.	Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	63
Tabela 45.	Określenie rocznej wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku	65

10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet	13
Rysunek 2. [REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	52
Rysunek 3. [REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	53

11. 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. Bussel J., Kuter D., Pullarkat V. i in., *Safety and efficacy of long-term treatment with romiplostim in thrombocytopenic patients with chronic ITP*, American Society of Hematology 2009, 113: 2161-2171
 3. Charakterystyka Produktu Leczniczego Nplate® zatwierdzona przez Ministerstwo Zdrowia Departament Polityki Lekowej i Farmacji
 4. Dane dostarczone przez Zamawiającego
 5. ██████████ i in., Nplate® w leczeniu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej – analiza kliniczna
 6. ██████████. i in., Nplate® w leczeniu pierwotnej małopłytkowości immunologicznej – analiza ekonomiczna
 7. Kuter D., Bussel J., Lyons R. i in., *Efficacy of romiplostim in patients with chronic immune thrombocytopenic purpura: a double-blind randomised controlled trial*, Lancet 2008, 371: 395-403
 8. Kuter DJ, Bussel JB, Newland A, i in. *Long-Term Efficacy and Safety of Romiplostim Treatment of Adult Patients with Chronic Immune Thrombocytopenia (ITP): Final Report from an Open-Label Extension Study (ASH Annual Meeting Abstracts)*. Blood 2010, November 19 ,116(21): 68 (data dostępu 22.01.2014 r.) <https://ash.confex.com/ash/2010/webprogram/Paper31887.html>
 9. Kuter D., Bussel J., Newland A., *Long-term treatment with romiplostim in patients with chronic immune thrombocytopenia: safety and efficacy*, British Journal of Haematology 2103, 161: 411-423
 10. Narodowy Fundusz Zdrowia, Informator o umowach <http://www.nfz.gov.pl/new/?katnr=3&dzialnr=19&artnr=1483>, data dostępu (15.11.2013 r.)
-

11. Narodowy Bank Polski, <http://nbp.pl/home.aspx?f=/statystyka/kursy.html> (data dostępu 15.11.2013 r.)
12. National Institute for Health and Clinical Excellence, *Romiplostim for the Treatment of chronic immune (idiopathic) thrombocytopenic purpura*, NICE technology appraisal guidance 221, April 2011
13. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 23 grudnia 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 stycznia 2014
14. Plan finansowy NFZ na 2013 r. stanowiący załącznik do zarządzenia nr 64/2012/DEF Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 17 października 2012 r. w sprawie zmiany planu finansowego Narodowego Funduszu Zdrowia na 2013 rok
15. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, http://www.mz.gov.pl/wwwfiles/ma_struktura/docs/rozp_urzcen_03042012.pdf
16. Sprawozdanie z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2012 rok
17. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. Nr. 210, poz. 2135, z poz. zm.)
18. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2011 Nr 122, poz. 696, z poz. zm.)
19. Weitz I., Sanz M., Henry D. i in., *A novel approach to the evaluation of bleeding - related episodes in patients with chronic immune thrombocytopenia*, Current Medical Research & Opinion 2012, 28(5): 789-796
20. Wyniki badań ankietowych na temat: waga i nadwaga Polaków, http://www.estymator.com.pl/WYNIKI/WAGA_I_NADWAGA_POLAKOW__raport.pdf

-
21. Zarządzenie nr 78/2013/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 13 grudnia 2013 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe)
 22. Zarządzenie Prezesa NFZ 89/2013/DSOZ z dnia 19 grudnia 2013 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: leczenie szpitalne
 23. Zarządzenie Prezesa NFZ Nr 82/2013/DSOZ z dnia 17 grudnia 2013 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna
 24. Zarządzenie Prezesa NFZ 89/2013/DSOZ z dnia 19 grudnia 2013 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: leczenie szpitalne
 25. Zawilska K, Podolak-Dawidziak M, Chojnowski K., *Polskie zalecenia postępowania w pierwotnej małopłytkowości immunologicznej, opracowane przez Grupę ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Transfuzjologów i Hematologów*, Medycyna Praktyczna 2010, 120 (Suppl): 2-28
 26. Zawilska K., *Samoistna plamica małopłytkowa – skala problemu*, Acta Haematologica Polonica 2009, 40(4): 843-849
-