

## ERRATA

do analizy weryfikacyjnej nr: AOTM-OT-4351-41/2014

Wniosek o objęcie refundacją leku Esmya (octan uliprystalu) we wskazaniu: leczenie przedoperacyjne umiarkowanych i ciężkich objawów mięśniaków macicy występujących u kobiet dorosłych w wieku rozrodczym do 40 roku życia

**JEST**

### 1.1.1. Obliczenia własne Agencji

W przedstawionej analizie wpływu na budżet wnioskodawca posługuje się danymi na temat przeprowadzonych zabiegów leczenia operacyjnego mięśniaków macicy. Według danych podanych przez eksperta, [REDAKTOWANE], i odnalezionych w źródłach mięśniaki macicy rozwijają się u 40 do nawet 70% kobiet, w tym u 12-25% mają one charakter objawowy, w tym w 50% przypadków objawy są umiarkowane do ciężkich. W związku z tym można przypuszczać, że liczba kobiet kwalifikujących się do operacji jest znacznie wyższa niż liczba kobiet leczonych operacyjnie według danych NFZ. Wnioskodawca nie uwzględnił zatem pacjentek, które kwalifikują się do operacji i mogą być leczone preparatem Esmya. Tymczasem dane z badań PEARL I i PEARL II wskazują, że duży procent kobiet, które były leczone farmakologicznie, po terapii rezygnuje z leczenia operacyjnego.

Poniżej zaprezentowano obliczenia na podstawie danych GUS w populacji kobiet w wieku 19-40 w Polsce oraz oszacowań eksperta. Konserwatywnie przyjęto, że umiarkowane do ciężkich objawy mięśniaków występują u 6% rozpatrywanej populacji kobiet (połowa z niższej wartości wskazanej przez eksperta). Oszacowanie eksperta potwierdza badanie epidemiologiczne. Według badania kohortowego przeprowadzonego w Niemczech na grupie 10 241 kobiet i opartego na ankietach dotyczących zdrowia, 5% kobiet deklaroowało, że chorują na mięśniaki natomiast 10% miało postawioną diagnozę tej choroby.<sup>26</sup> Oznacza to, że zgodnie z wnioskowanym wskazaniem lek Esmya mogłoby stosować ponad 982 tys. kobiet. W tabeli poniżej przedstawiono oszacowania wpływu na budżet przy założeniu, że lek Esmya stosuje 10, 50 i 100% kobiet z wnioskowanej populacji.

Tabela 1. Oszacowanie populacji docelowej na podstawie danych GUS i opinii eksperta

Populacja	Źródło	Wielkości populacji
Liczba kobiet w wieku 19-40	GUS, Stan ludności wg płci i roku urodzenia w dniu 30.06.2014 r. (tablica 4), <a href="http://demografia.stat.gov.pl/bazademografia/Tables.aspx">http://demografia.stat.gov.pl/bazademografia/Tables.aspx</a>	16 366 308
Liczba kobiet z objawowymi mięśniakami macicy	12% w wieku 19-40, zgodnie z mniejszym odsetkiem podanym przez eksperta, [REDAKTOWANE]	1 963 957
Liczba kobiet z umiarkowanymi i ciężkimi objawowymi mięśniakami macicy	50% kobiet z objawowymi mięśniakami, zgodnie z opinią eksperta, [REDAKTOWANE]	981 978
10% oszacowanej populacji	założenie	98 198
50% oszacowanej populacji		490 989
100% oszacowanej populacji		981 978

Tabela 2. Wyniki analizy wpływu na budżet: koszty[+]/oszczędności[-] inkrementalne – warianty AOTM [PLN]

Typ kosztów	Populacja stosująca lek Esmya (jako odsetek populacji wnioskowanej)					
	10%		50%		100%	
	Perspektywa NFZ	Perspektywa pacjenta	Perspektywa NFZ	Perspektywa pacjenta	Perspektywa NFZ	Perspektywa pacjenta

Koszty terapii refundowanym preparatem Esmya						
Pozostałe koszty						
Koszty operacji						
<b>KOSZTY CAŁKOWITE</b>	336 952 985	-830 753	1 684 764 925	-4 153 767	3 369 529 850	-8 307 534

Wyniki wskazują na potencjalne znaczne obciążenie budżetu NFZ w przypadku refundacji leku Esmya. Przy założeniu, że lek będzie stosować 10, 50 i 100% wnioskowanej populacji objęcie refundacją leku Esmya wiąże się ze wzrostem kosztów w wysokości odpowiednio 0,34; 1,68 i 3,37 mld PLN.

## POWINNO BYĆ

Zmiany wyróżniono szarym tłem.

### 1.1.2. Obliczenia własne Agencji

W przedstawionej analizie wpływu na budżet wnioskodawca posługuje się danymi na temat przeprowadzonych zabiegów leczenia operacyjnego mięśniaków macicy. Według danych podanych przez eksperta, [REDAKTOWANE], i odnalezionych w źródłach mięśniaki macicy rozwijają się u 40 do nawet 70% kobiet, w tym u 12-25% mają one charakter objawowy, w tym w 50% przypadków objawy są umiarkowane do ciężkich. W związku z tym można przypuszczać, że liczba kobiet kwalifikujących się do operacji jest znacznie wyższa niż liczba kobiet leczonych operacyjnie według danych NFZ. Wnioskodawca nie uwzględnił zatem pacjentek, które kwalifikują się do operacji i mogą być leczone preparatem Esmya. Tymczasem dane z badań PEARL I i PEARL II wskazują, że duży procent kobiet, które były leczone farmakologicznie, po terapii rezygnuje z leczenia operacyjnego.

Poniżej zaprezentowano obliczenia na podstawie danych GUS w populacji kobiet w wieku 19-40 w Polsce oraz oszacowań eksperta. Konserwatywnie przyjęto, że umiarkowane do ciężkich objawy mięśniaków występują u 6% rozpatrywanej populacji kobiet (połowa z niższej wartości wskazanej przez eksperta). Oszacowanie eksperta potwierdza badanie epidemiologiczne. Według badania kohortowego przeprowadzonego w Niemczech na grupie 10 241 kobiet i opartego na ankietach dotyczących zdrowia, 5% kobiet deklarowało, że chorują na mięśniaki natomiast 10% miało postawioną diagnozę tej choroby.<sup>26</sup> Oznacza to, że zgodnie z wnioskowanym wskazaniem lek Esmya mogłoby stosować ponad 377 tys. kobiet. W tabeli poniżej przedstawiono oszacowania wpływu na budżet przy założeniu, że lek Esmya stosuje 10, 50 i 100% kobiet z wnioskowanej populacji.

Tabela 3. Oszacowanie populacji docelowej na podstawie danych GUS i opinii eksperta

Populacja	Źródło	Wielkości populacji
Liczba kobiet w wieku 19-40	GUS, Stan ludności wg płci i roku urodzenia w dniu 30.06.2014 r. (tablica 4), <a href="http://demografia.stat.gov.pl/bazademografia/Tables.aspx">http://demografia.stat.gov.pl/bazademografia/Tables.aspx</a>	6 291 324
Liczba kobiet z objawowymi mięśniakami macicy	12% w wieku 19-40, zgodnie z mniejszym odsetkiem podanym przez eksperta, [REDAKTOWANE]	754 959
Liczba kobiet z umiarkowanymi i ciężkimi objawowymi mięśniakami macicy	50% kobiet z objawowymi mięśniakami, zgodnie z opinią eksperta, [REDAKTOWANE]	377 479
10% oszacowanej populacji	założenie	37 748
50% oszacowanej populacji		188 740
100% oszacowanej populacji		377 479

Tabela 4. Wyniki analizy wpływu na budżet: koszty[+]/oszczędności[-] inkrementalne – warianty AOTM [PLN]

Typ kosztów	Populacja stosująca lek Esmya (jako odsetek populacji wnioskowanej)					
	10%		50%		100%	
	Perspektywa NFZ	Perspektywa pacjenta	Perspektywa NFZ	Perspektywa pacjenta	Perspektywa NFZ	Perspektywa pacjenta
Koszty terapii refundowanym preparatem Esmya						
Pozostałe koszty						
Koszty operacji						
<b>KOSZTY CAŁKOWITE</b>	129 527 163	-319 348	647 635 813	-1 596 738	1 295 271 626	-3 193 476

Wyniki wskazują na potencjalne znaczne obciążenie budżetu NFZ w przypadku refundacji leku Esmya. Przy założeniu, że lek będzie stosować 10, 50 i 100% wnioskowanej populacji objęcie refundacją leku Esmya wiąże się ze wzrostem kosztów w wysokości odpowiednio 0,13; 0,65 i 1,30 mld PLN.