





**Analiza wpływu na system ochrony
zdrowia – deferazyroks (preparat
Exjade®) w leczeniu dzieci
i młodzieży (do 18 roku życia)
z nadmiarem żelaza w organizmie
na skutek przyjmowanych
transfuzji krwi**





SPIS TREŚCI

1. LISTA OSÓB ZAANGAŻOWANYCH W TWORZENIE RAPORTU HTA	6
2. INDEKS SKRÓTÓW	7
3. STRESZCZENIE	8
4. ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA	9
4.1. Cel analizy	9
4.2. Metodyka i założenia	9
4.2.1. Populacja	9
4.2.1.1. Populacja docelowa	10
4.2.2. Perspektywa	12
4.2.3. Horyzont czasowy	12
4.2.4. Porównywane scenariusze	12
4.2.5. Udziały w rynku	13
4.2.5.1. Scenariusz „istniejący”	13
4.2.5.2. Scenariusz „nowy”	13
4.2.6. Koszty	15
4.2.6.1. Koszty leków	15
4.2.6.2. Koszty podania leków	16
4.2.6.3. Koszty transfuzji elementów morfotycznych	17
4.2.6.4. Monitorowanie leczenia	19
4.2.6.5. Koszty leczenia działań niepożądanych	20
4.2.6.6. Zestawienie kosztów	21
4.2.7. Zużyte zasoby	21
4.2.7.1. Zużycie deferazyroksu	21
4.2.7.2. Zużycie deferoksaminy	26
4.2.8. Dyskontowanie	27
4.2.9. Współczynnik <i>compliance</i>	27
4.3. Wyniki analizy wpływu na budżet	29
4.3.1. Perspektywa płatnika publicznego (budżet NFZ)	29
4.4. Analiza wrażliwości	31
4.5. Analiza scenariuszy skrajnych	37
4.5.1.1. Scenariusz minimalny	37
4.5.1.2. Scenariusz maksymalny	37
4.5.1.3. Wyniki analizy scenariuszy skrajnych	38
4.6. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych	40
4.7. Aspekty społeczne i etyczne	40
4.8. Wyniki i wnioski końcowe	42
5. SPIS TABEL	44

6. SPIS WYKRESÓW	45
7. PIŚMIENNICTWO	46

[REDACTED]

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

Data zakończenia analizy: maj 2012 r.

Dane kontaktowe:

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

2. INDEKS SKRÓTÓW

DFO	Defeoksamina
DFP	Deferyprone
DSX	Deferazyroks
JGP	Jednorodne Grupy Pacjentów
kg	Kilogram
KKCz	Koncentrat krwinek czerwonych
m.c.	Masa ciała
mg	Miligram
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia

3. STRESZCZENIE

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

4. ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

4.1. Cel analizy

Analizę wpływu na system ochrony zdrowia wykonano w celu oszacowania skutków finansowych dla budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia w przypadku refundacji leku Exjade® zawierającego deferazyroks stosowanego w leczeniu doustnym stanów nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci i młodzieży w wieku do 18 lat.

4.2. Metodyka i założenia

[Redacted text block]

[Redacted text block]

4.2.1. Populacja

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

4.2.1.1. Populacja docelowa

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

4.2.2. Perspektywa

Analizę wpływu na system ochrony zdrowia refundacji deferazyroksu (leku Exjade®) przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego finansującego świadczenia zdrowotne (Narodowy Fundusz Zdrowia). Ponieważ pacjent objęty leczeniem w ramach programu lekowego nie ponosi odpłatności za prowadzoną terapię, w niniejszej analizie perspektywa pacjenta nie została uwzględniona.

4.2.3. Horyzont czasowy

Analizę wpływu na budżet płatnika wprowadzenia refundacji preparatu Exjade®, stosowanego w leczeniu dzieci i młodzieży (wiek poniżej 18 lat) z przeładowaniem żelaza powstałym na skutek częstych transfuzji krwi, przeprowadzono dla dwuletniego horyzontu czasowego (lipiec 2012 – czerwiec 2014)

[REDACTED]

4.2.4. Porównywane scenariusze

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

4.2.5. Udziały w rynku

4.2.5.1. Scenariusz „istniejący”

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

4.2.5.2. Scenariusz „nowy”

[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]

4.2.6. Koszty

W poniższych podrozdziałach przedstawiono szczegółowe dane dotyczące kosztów stosowania deferazyroksu oraz deferoksaminy. Szczegółowe obliczenia znajdują się w kalkulatorze dołączonym do analizy – BIA_Exjade.xlsx.

4.2.6.1. Koszty leków

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

4.2.6.2. Koszty podania leków

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text]

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

[Redacted text block]

[Redacted text]

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

4.2.6.3. Koszty transfuzji elementów morfotycznych

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[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 text block]

4.2.6.4. Monitorowanie leczenia

W ramach monitorowania wykonuje się m.in. badania biochemiczne, badania słuchu, badania wzroku, badania wzrostu, masy ciała i rozwoju seksualnego, monitorowanie pracy układu krążenia oraz badania obrazowe jamy brzusznej. Wszystkie powyższe świadczenia mogą być wykonywane w szpitalu w trakcie hospitalizacji związanych z podaniem KKCz oraz monitorowaniem terapii. Zestawienie roczne liczby poszczególnych badań wykonywanych w celu monitorowania terapii chelatującej żelazo zamieszczono poniżej (Tabela 11).

Tabela 11
Monitorowanie terapii chelatującej żelazo za pomocą deferyzroksu lub deferoksaminy – populacja dzieci

Badania	Przed rozpoczęciem terapii chelatującej	Kolejne miesiące terapii chelatującej														
		1 miesiąc*				2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12
		1	2	3	4											
Alat/Aspat, fosfataza alkaliczna, bilirubina	x	x		x		x	x	x	x	x	x	x	x	x	x	x
Ferrytyna w surowicy	x	x				x	x	x	x	x	x	x	x	x	x	x
Kreatynina w surowicy	x					x	x	x	x	x	x	x	x	x	x	x
Cystatyna C w surowicy	x	x		x		x	x	x	x	x	x	x	x	x	x	x
Kreatynina w moczu; klirens kreatyniny wg wzoru Schwarza	x	x		x		x	x	x	x	x	x	x	x	x	x	x
Badanie w kierunku proteinurii i glukozurii	x	x				x	x	x	x	x	x	x	x	x	x	x
Hormony tarczycy	x									x						x
Stężenie jonów w surowicy krwi: Na, K, Mg	x					x	x	x	x	x	x	x	x	x	x	x
Badanie słuchu	x											x				x
Badanie wzroku (dno oka)	x											x				x
Wzrost, masa ciała i rozwój seksualny pacjentów	x															x
EKG	x															x

Badania	Przed rozpoczęciem terapii chelatującej	Kolejne miesiące terapii chelatującej															
		1 miesiąc*				2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	
		1	2	3	4												
Echo serca	x										x						x
Rezonans magnetyczny serca	x																x
USG jamy brzusznej	x																x
Tomografia komputerowa jamy brzusznej	x																x
RTG klatki piersiowej, spirometria oraz ew. tomografia komputerowa klatki piersiowej	x																x

x – jeden znak „x” oznacza jedno badanie w danym okresie czasu

* Pierwszy miesiąc leczenia rozbito na okresy tygodniowe (łącznie 4 tygodnie)

[Redacted text block]

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

4.2.6.5. Koszty leczenia działań niepożądanych

W ramach przeprowadzonej analizy efektywności klinicznej wykazano skuteczność i akceptowalny profil bezpieczeństwa deferazyroksu w dużych grupach pacjentów i długich okresach czasu [26]. W badaniu Cappellini 2006 [4] większość działań niepożądanych związanych z leczeniem deferazyroksiem miało charakter łagodny, przejściowy i były łatwe do opanowania.

W niniejszej analizie nie zostały uwzględnione koszty działań niepożądanych ze względu na brak dostępnych badań porównujących odsetki działań niepożądanych występujących u dzieci leczonych deferoksaminą i deferazyroksiem.

[Redacted text block]

[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 text block]

[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]

4.2.8. Dyskontowanie

W analizie wpływu na system ochrony zdrowia nie przeprowadzono dyskontowania kosztów, ponieważ ten typ analizy przedstawia przepływ środków finansowych w czasie [1].

4.2.9. Współczynnik compliance

[REDACTED]

[Redacted text block]

4.3. Wyniki analizy wpływu na budżet

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego finansującego świadczenia zdrowotne (budżet Narodowego Funduszu Zdrowia).

4.3.1. Perspektywa płatnika publicznego (budżet NFZ)

[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]



4.4. Analiza wrażliwości

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

[Redacted text block]

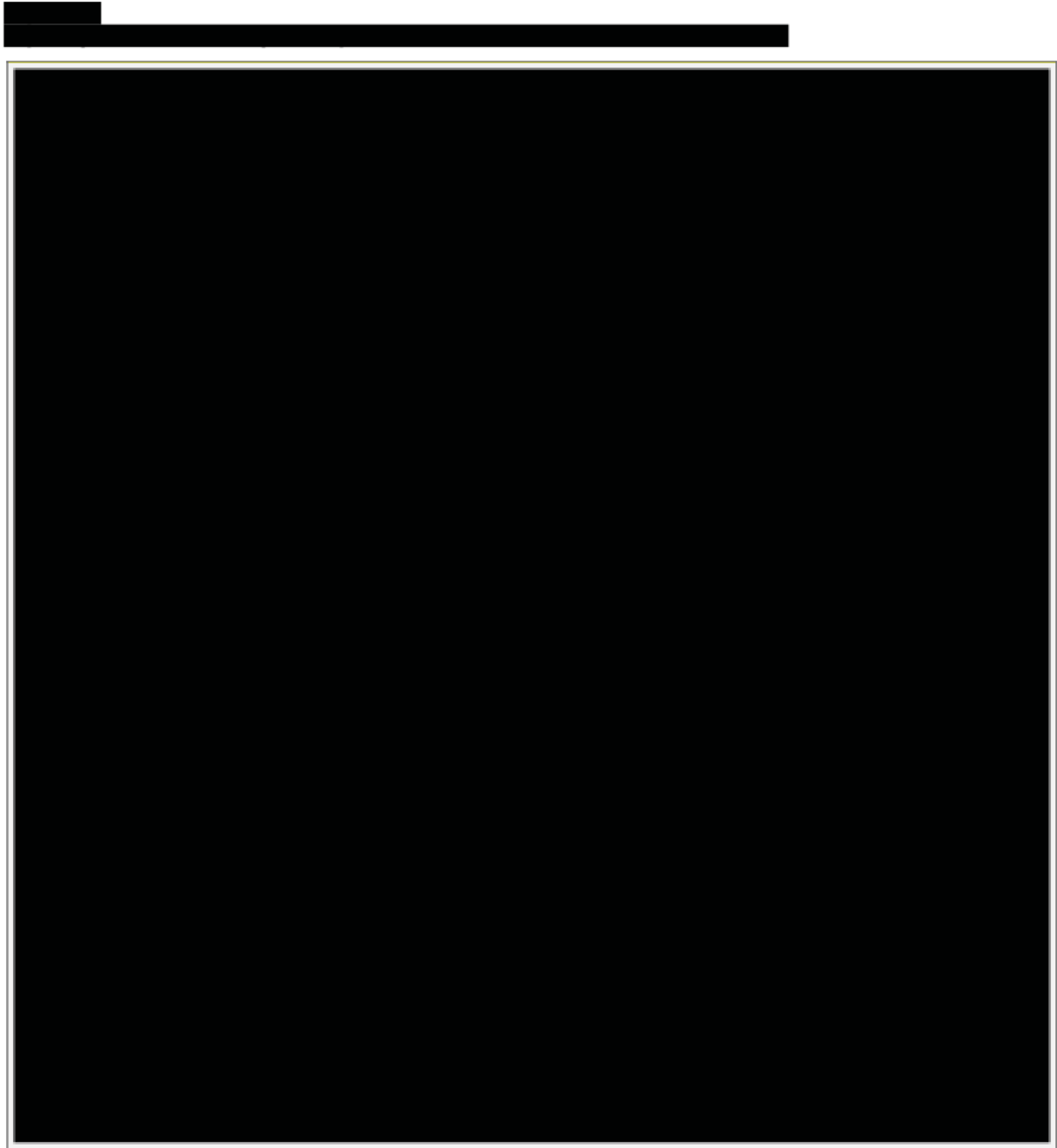
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]			[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
I	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
II	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
III	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
IV	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
V	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
VI	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
VII	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
VIII	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
IX	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
X	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XI	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XII	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XIII	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XIV	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XV	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XVI	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XVII	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XVIII	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XIX	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
XX	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]			
		[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[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 consisting of multiple lines of blacked-out text]

4.5. Analiza scenariuszy skrajnych

[Redacted text block]

4.5.1.1. Scenariusz minimalny

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

4.5.1.2. Scenariusz maksymalny

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

4.5.1.3. Wyniki analizy scenariuszy skrajnych

[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]

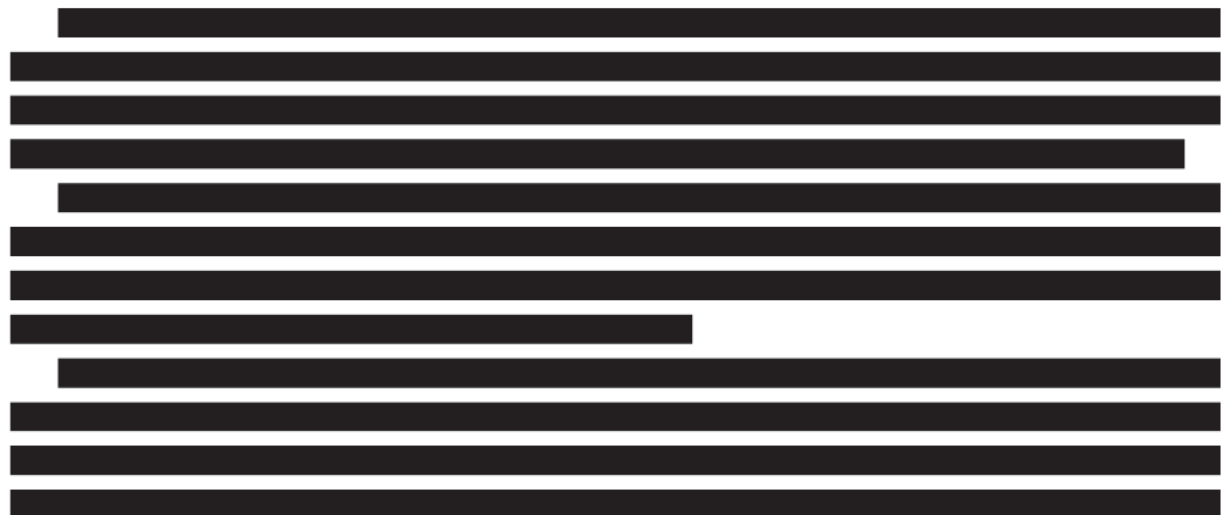
[Redacted]



4.6. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Wprowadzenie refundacji preparatu Exjade® stosowanego w leczeniu stanów nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci i młodzieży w wieku do 18 lat nie powinno spowodować konieczności zmian w organizacji świadczeń zdrowotnych. Pozytywna decyzja nie powinna spowodować konsekwencji dla wydatków publicznych w sektorach innych niż ochrona zdrowia. Wprowadzenie refundacji nie wymaga dodatkowego przeszkolenia personelu, opracowania nowych wytycznych klinicznych, zmiany zasad diagnostycznych oraz nie wymaga wprowadzania zmian w prawie.

4.7. Aspekty społeczne i etyczne



[Redacted text block]

[Redacted text block]

4.8. Wyniki i wnioski końcowe

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted header]			
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

5. SPIS TABEL

Tabela 1	Udziały w rynku – scenariusz „istniejący”	13
Tabela 2	Udziały w rynku – rynek francuski na podstawie badania <i>Thuret 2010</i> [28]	14
Tabela 3	Udziały w rynku – rynek włoski na podstawie badania <i>Ceci 2011</i> [6].....	14
Tabela 4	Udziały w rynku – scenariusz „nowy”	15
Tabela 5	Charakterystyka preparatu Exjade® oraz preparatu Desferal®	16
Tabela 6	Średnia cena hurtowa leku Exjade® w danym okresie horyzontu czasowego analizy	16
Tabela 7	Charakterystyka grupy JGP (P19) – podanie deferoksaminy	17
Tabela 8	Charakterystyka grupy JGP (S05 oraz S06) – podanie deferoksaminy	17
Tabela 9	Charakterystyka świadczeń – przetoczenie koncentratu krwinek czerwonych	18
Tabela 10	Charakterystyka świadczeń – hospitalizacja związana z przetoczeniem krwi.....	18
Tabela 11	Monitorowanie terapii chelatującej żelazo za pomocą deferyroksu lub deferoksaminy – populacja dzieci	19
Tabela 12	Charakterystyka grupy JGP (P19) – badania kontrolne	20
Tabela 13	Zestawienie kosztów	21
Tabela 14	Masa ciała dziewczynek i chłopców w poszczególnym wieku (na podstawie <i>National Standard Growth Charts</i> [13]) oraz udział procentowy poszczególnych grup wiekowych wobec całej populacji chorych (<i>McLeod 2009</i> [18]) – dodatkowo przeskalowanie do udziału w grupie wiekowej 2-17 lat	22
Tabela 15	Średnie dawkowanie w poszczególnych grupach wiekowych – badanie <i>Kattamis 2005</i> [15]	24
Tabela 16	Zużycie deferyroksu.....	25
Tabela 17	Zużycie deferyroksu – scenariusz „nowy”*	26
Tabela 18	Liczba hospitalizacji związanych z podaniem deferoksaminy	27
Tabela 19	Wartości współczynników compliance dla terapii chelatujących (na podstawie przeglądu <i>Delea 2007</i> [8])	28
Tabela 20	Przewidywane koszty budżetu NFZ w 2-letnim horyzoncie czasowym – analiza podstawowa	30
Tabela 21	Przewidywane koszty budżetu NFZ w 2-letnim horyzoncie czasowym – analiza podstawowa – wyszczególnienie kosztu refundacji produktu Exjade®	30
Tabela 22	Przewidywane koszty budżetu NFZ w okresie 07.2012-06.2013 – analiza wrażliwości	32
Tabela 23	Przewidywane koszty budżetu NFZ w okresie 07.2013-06.2014 – analiza wrażliwości	33
Tabela 24	Udziały w rynku – scenariusz minimalny	37
Tabela 25	Udziały w rynku – scenariusz maksymalny.....	38
Tabela 26	Przewidywane koszty budżetu NFZ w 2-letnim horyzoncie czasowym – analiza scenariuszy skrajnych.....	38
Tabela 27	Przewidywane koszty budżetu NFZ w 2-letnim horyzoncie czasowym – analiza scenariuszy skrajnych – wyszczególnienie kosztu refundacji produktu Exjade®	39
Tabela 28	Wyniki analizy wpływu na budżet: zbiorcze zestawienie zmian wydatków w poszczególnych scenariuszach.....	43

6. SPIS WYKRESÓW

Wykres 1 Szacowane koszty i dodatkowe wydatki budżetu NFZ po wprowadzeniu refundacji leku Exjade® - analiza podstawowa.....	30
Wykres 2 Wyniki jednokierunkowej analizy wrażliwości w okresie 07.2012 – 06.2013.....	35
Wykres 3 Wyniki jednokierunkowej analizy wrażliwości w okresie 07.2013 – 06.2014.....	36
Wykres 4 Szacowane dodatkowe wydatki/oszczędności budżetu NFZ po wprowadzeniu refundacji leku Exjade® - analiza scenariuszy skrajnych	40

7. PIŚMIENICTWO

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych. *Wytyczne przeprowadzania Oceny Technologii Medycznych (HTA)*. Warszawa, kwiecień 2009. Wersja 2.1.
2. Albrecht K., Adamowicz-Salach A., Siwicka A., Burzyńska B., Matysiak M., *Nowoczesne rozpoznawanie talasemii u dzieci – doświadczenia własne; Journal of Transfusion Medicine 2011, tom 4, nr 3, 105–114 (szybki podgląd Google: [46](https://docs.google.com/viewer?a=v&q=cache:BY2sHrxiUcoJ:www.jtm.viamedica.pl/zamow_art_pdf.phtml?id%3D12%26indeks_art%3D55+Nowoczesne+rozpoznawanie+talasemii+u+dzieci+%E2%80%94+do%26%9Bwiadczenia+w%26%82asne&hl=pl&gl=pl&pid=bl&srcid=ADGEEShaT u9F-JeQZVDk2szXmAoDXTNpxJ0BbQYt8-C5o5YipDYre9tQXUW3H3LZFXkwtkMhK-wShwNAVckfOfpytmgM7-6vL6jNkrPHjyIWn4IKahUuBcJ0NO0skoXkARPJjAcv8IQG&sig=AHIEtbRsPGNqYtnz_5L-GNVckg8_ufpUXg : ostatni dostęp 18.04.2012)</i>3. Cappellini MD, Bejaoui M, Agaoglu L, Porter J, Coates T, Jeng M, Lai ME, Mangiagli A, Strauss G, Girot R, Watman N, Ferster A, Loggetto S, Abish S, Cario H, Zoumbos N, Vichinsky E, Opitz H, Ressayre-Djaffer C, Abetz L, Rofail D, Baladi JF. Prospective evaluation of patient-reported outcomes during treatment with deferasirox or deferoxamine for iron overload in patients with beta-thalassemia. <i>Clin Ther.</i> 2007 May;29(5):909-174. Cappellini M.D., Giardina P., Porter J., Coates T., Della Porta M.D., Siegel J., Glimm E., Ford J. Long-Term Safety and Tolerability of the Once-Daily, Oral Iron Chelator Deferasirox (Exjade®, ICL670) in Patients with Transfusional Iron Overload. <i>Blood (ASH Annual Meeting Abstracts) 2006 108: Abstract 1768</i>5. Cappellini M.D., Porter J., El-Beshlawy A. et al., <i>Tailoring iron chelation by iron intake and serum ferritin: the prospective EPIC study of deferasirox in 1744 patients with transfusion-dependent anemias</i> Haematologica. 2010 April; 95(4): 557–566. Published online 2009 November 30. doi: 10.3324/haematol.2009.0146966. Ceci A., Mangiarini L., Felisi M et al., <i>The Management of Iron Chelation Therapy: Preliminary Data from a National Registry of Thalassaemic Patients</i>; Hindawi Publishing Corporation Anemia Volume 2011, Article ID 435683, 7 pages; doi:10.1155/2011/435683;7. Delea T E, Sofrygin O, Thomas S K, Baladi J F, Phatak P D, Coates T D. Cost effectiveness of once-daily oral chelation therapy with deferasirox versus infusional deferoxamine in transfusion-dependent thalassaemia patients: US healthcare system perspective. <i>Pharmacoeconomics</i> 2007; 25(4): 329-3428. Delea T, Edelsberg J, Sofrygin O, Thomas S, Baladi JF, Phatak P, Coates T, <i>Consequences and costs of noncompliance with iron chelation therapy in patients with transfusion-dependent thalassemia: a literature review</i>, <i>Transfusion</i> 2007; 47: 1919-1929</div><div data-bbox=)*

9. Desferal®, Charakterystyka produktu leczniczego
10. Exjade®, Charakterystyka produktu leczniczego
11. *Finansowanie ochrony zdrowia w 2012 roku*; Konferencja prasowa – Ministerstwo Zdrowia oraz Narodowy Fundusz Zdrowia; http://www.mz.gov.pl/wwwfiles/ma_struktura/docs/prezentac_finans_11082011.pdf (ostatni dostęp 18.04.2012)
12. Gabutti V., Piga A., *Results of long-term iron-chelating therapy*, Acta Haematologica 1996; 95: 26-36
13. Harlow Printing Limited; UK National Standard Growth Charts; Sickle Cell Weight Graphing weight (kg); <http://shop.healthforallchildren.co.uk/pro.epl?SHOP=HFAC4&DO=USERPAGE&PAGE=SINGLEPLOTSICKWEIGHT> (ostatni dostęp 24.04.2012)
14. Internetowa strona Narodowego Funduszu Zdrowia, Informator o umowach <http://www.nfz.gov.pl/> (ostatni dostęp
15. Kattamis C., Kilinc Y., Fattoum S., *Deferasirox (Exjade®, ICL670) Demonstrates Iron Chelating Efficacy Related to Transfusional Iron Intake in Pediatric Patients* (abstract)
16. Kim J, Kim Y. A time-cost augmented economic evaluation of oral deferasirox versus infusional deferoxamine for patients with iron overload in South Korea. Value in Health 2009; 12(Supplement 3): S78-S81
17. Matysiak M., Kowalczyk J.R., *Postępowanie w stanach nadmiaru żelaza w organizmie. Onkohematologia dziecięca – co nowego?* Redakcja naukowa: prof. dr hab. n. med. Jerzy R. Kowalczyk; ROK: 2009; str. 30-40;
18. McLeod C, Fleeman N, Kirkham J, Bagust A, Boland A, Chu P, et al. *Deferasirox for the treatment of iron overload associated with regular blood transfusions (transfusional haemosiderosis) in patients suffering with chronic anaemia: a systematic review and economic evaluation*. Health Technol Assess 2009;13(1).
19. ██████████ *Analiza problemu decyzyjnego deferazyroksu (Exjade®) stosowanego u dzieci i młodzieży z nadmiernym obciążeniem żelazem w wyniku częstych transfuzji krwi w przebiegu różnych anemii*; ██████████, Kraków maj 2012

22. Sayani F., Warner M., Wu J. et al. *Guidelines for the Clinical Care of Patients with Thalassemia in Canada* Anemia Institute for Research & Education; Thalassemia Foundation of Canada; 2009; str. 1-84
23. ██████████ *Deferazyroks (preparat Exjade®) w leczeniu nadmiernego obciążenia żelazem u dzieci i młodzieży – analiza użyteczności kosztów ██████████*; Kraków maj 2012
24. Stanowisko Rady Konsultacyjnej nr 5/2/2010 z dnia 18 stycznia 2010r. w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci przy wykorzystaniu produktu leczniczego deferazyroks (EXJADE®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego http://www.aotm.gov.pl/assets/files/rada/rekomendacje_stanowiska/2010/R2-2010-Exjade/stanowisko_RK_AOTM_5_2_2010_deferazyroks_Exjade.pdf (ostatni dostęp 23.04.2012)
25. Szczeklik A., *Choroby wewnętrzne. Stan wiedzy na rok 2011*; Medycyna praktyczna Kraków 2011;
26. ██████████ *Analiza efektywności klinicznej deferazyroksu (Exjade®) u dzieci i młodzieży z nadmiernym obciążeniem żelazem w wyniku częstych transfuzji krwi w przebiegu różnych anemii*; ██████████, Kraków, maj 2012.
27. Taher A, Al Jefri A, Elalfy MS, Al Zir K, Daar S, Rofail D, Baladi JF, Habr D, Kriemler-Krahn U, El-Beshlawy A, Improved Treatment Satisfaction and Convenience with Deferasirox in Iron-Overloaded Patients with β -Thalassemia: Results from the ESCALATOR Trial, *Acta Haematol* 2010;123:220–225
28. Thuret I, Pondarré C, Loundou A, Steschenko D, Girot R, Bachir D, Rose C, Barlogis V, Donadieu J, de Montalembert M, Hagege I, Pegourie B, Berger C, Micheau M, Bernaudin F, Leblanc T, Lutz L, Galactéros F, Siméoni M-C, and Badens C. *Complications and treatment of patients with β -thalassemia in France: results of the National Registry. Haematologica* 2010;95:724-729. doi:10.3324/haematol.2009.018051
29. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z dnia 13 czerwca 2011 r.)
30. Zarządzenie Nr 11/2012/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 28 lutego 2012 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: leczenie szpitalne
31. Zarządzenie Nr 72/2011/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 20 października 2011 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: leczenie szpitalne z załącznikami
32. Zoellner Y., Balp M-M., Marco A. G., *The role of galenic innovation in improving treatment compliance and persistence: three case studies* ClinicoEconomics and Outcomes Research 2011;3 109–116