

ANALIZA RACJONALIZACYJNA

ELTROMBOPAG (REVOLADE®) W LECZENIU OPORNÝCH POSTACI PIERWOTNEJ MAŁOPŁYTKOWOŚCI IMMUNOLOGICZNEJ W RAMACH PROGRAMU LEKOWEGO

Wersja 1.0



 sierpień 2012



[REDACTED]

Projekt zakończono: maj 2012

Autorzy:

[REDACTED] metodyka analizy, opracowanie tekstu analizy, przeprowadzenie obliczeń
[REDACTED] opracowanie tekstu analizy, przeprowadzenie obliczeń

Zgodnie z procedurami firmy [REDACTED] analizę poddano wewnętrznej kontroli jakości w następujących obszarach:

Kontrola obliczeń: [REDACTED]
Korekta językowa: [REDACTED]
Kontrola merytoryczna: [REDACTED]

Powielanie tego dokumentu w całości, w częściach jak również wykorzystywanie całości tekstu lub jego fragmentów wymaga zgody właściciela praw majątkowych oraz podania źródła.

Analiza została sfinansowana i przeprowadzona na zlecenie:

GSK Services Sp. z o.o.

ul. Grunwaldzka 189
60-322 Poznań

Zamawiającego reprezentowała

[REDACTED]

SPIS TREŚCI

GSK Services Sp. z o.o.	2
1. Problem zdrowotny	4
2. Oceniana interwencja	5
Wydatki płatnika publicznego na eltrombopag w populacji refundacyjnej	6
3. Proponowane oszczędności	7
4. Podsumowanie	9
5. Bibliografia	10

1. PROBLEM ZDROWOTNY

ITP jest chorobą autoimmunologiczną, która charakteryzuje się zmniejszeniem liczby płytek krwi (trombocytopenia) poniżej $150 \times 10^9/l$, występowaniem krwawień śluzówkowo-skórnych, od łagodnych do zagrażających życiu, oraz skłonnością do pojawiania się zasinień (purpura, plamica) lub wylewów krwi poza kapilary skórne i błony śluzowe. Choroba spowodowana jest obecnością autoprzeciwciał skierowanych przeciwko płytkom krwi, które przyspieszają ich niszczenie. [1]

Dane epidemiologiczne dotyczące występowania i rozpowszechnienia ITP nie są jednoznaczne. Według podręcznika „Choroby wewnętrzne” (red. Prof. A. Szczeklik) [2] szacowana zapadalność na pierwotną małopłytkowość immunologiczną wśród dorosłych wynosi od 3,2 do 6,6 przypadków na 100 000 osób rocznie. W pracy Schoonen 2009 [3] zapadalność na ITP oszacowano na 3,8 pacjentów na 100 000 PY (pacjento-lata). Natomiast w opublikowanym przeglądzie systematycznym badań epidemiologicznych (Abrahamson 2009 [4]) ustalono, że zapadalność wynosi od 1,6 do 2,68 na 100 000 osób rocznie, natomiast rozpowszechnienie szacuje się w granicach od 9,5 do 23,6 chorych na 100 000 dorosłych. W jedynej odnalezionej publikacji poruszającej problem epidemiologii ITP w Polsce [5], zapadalność na ITP oszacowano na 3,5/100 000 osób (obliczenia uwzględniały zarówno dorosłych, jak i dzieci).

2. OCENIANA INTERWENCJA

ELT jest drobnocząsteczkowym, doustnym agonistą receptora dla trombopoetyny. ELT reaguje z transbłonową domeną ludzkiej trombopoetyny i inicjuje kaskadę sygnałów podobnych, ale nie identycznych, do tych powodowanych przez endogenną trombopoetynę. Skutkiem jest proliferacja i przeróżnicowanie megakariocytów z komórek progenitorowych w szpiku kostnym. [1]

ELT zarejestrowany został w leczeniu dorosłych pacjentów z pierwotną małopłytkowością samoistną, u których nie uzyskano zadawalającej odpowiedzi pomimo zastosowania GKS, immunoglobulin oraz zabiegu splenektomii. ELT może być stosowany wyłącznie u pacjentów z ITP i z wysokim ryzykiem krwawienia w celu uzyskania wzrostu poziomu płytek. Nie zaleca się podawania leku w celu normalizacji poziomu płytek.

Lek podawany jest doustnie, tabletki 25 mg lub tabletki 50 mg 1 raz dziennie, przy czym nie należy przekraczać maksymalnej dawki 75 mg/dzień. Leczenie ELT należy przerwać, jeśli po 4 tygodniach stosowania maksymalnej dawki leku poziom płytek krwi nie wzrośnie powyżej $50 \times 10^9/l$ lub gdy poziom płytek wzrośnie powyżej $400 \times 10^9/l$, a także w przypadku znaczących zaburzeń funkcji wątroby.

Na terenie Stanów Zjednoczonych ELT został zarejestrowany przez FDA (Agencja ds. Żywności i Leków) 20 listopada 2008 roku. Dnia 11 sierpnia 2009 roku ELT został pozytywnie zaopiniowany przez EMEA jako lek ze wskazaniem w terapii pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (EU/3/07/467) [6], natomiast 11 marca 2010 roku został dopuszczony do obrotu na terenie Unii Europejskiej EU/1/10/612/001-006 [1].

WYDATKI PŁATNIKA PUBLICZNEGO NA ELTROMBOPAG W POPULACJI REFUNDACYJNEJ

Poniżej przedstawiono wielkość prognozowanych wydatków płatnika wynikających z finansowania ze środków publicznych eltrombopagu w populacji pacjentów po niepowodzeniu splenektomii nieskutecznie leczonych innymi opcjami terapeutycznymi (np. glikokortykosteroidami lub immunoglobulinami) – Scenariusz I oraz w populacji pacjentów po niepowodzeniu lub z przeciwwskazaniami do splenektomii nieskutecznie leczonych innymi preparatami – Scenariusz II. Szczegółowe zasady przeprowadzenia obliczeń wraz z założeniami analizy przedstawiono w opisie analizy wpływu na budżet [7].

Tabela 1.
Wyniki analizy wpływu na budżet – scenariusz I

Kategoria			
Wydatki w scenariuszu aktualnym			
Wydatki w scenariuszu prognozowanym			
Wydatki inkrementalne			

Tabela 2.
Wyniki analizy wpływu na budżet – scenariusz II

Kategoria			
Wydatki w scenariuszu aktualnym			
Wydatki w scenariuszu prognozowanym			
Wydatki inkrementalne			

3. PROPONOWANE OSZCZĘDNOŚCI

Celem opracowania jest przedstawienie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet płatnika publicznego, dotyczącej finansowania w Polsce ze środków publicznych preparatu Revolade® (eltrombopag) u pacjentów po niepowodzeniu lub z przeciwwskazaniami do splenektomii nieskutecznie leczonych innymi preparatami.

Analiza racjonalizacyjna odnosi się do wyników analizy wpływu na budżet refundacji eltrombopagu, przy założeniu, że będzie on finansowany ze środków publicznych w ramach programu lekowego. Finansowanie tego preparatu Revolade w terapii opornych postaci pierwotnej małopłytkowości wiązałyby się z [REDACTED] płatnika publicznego, dlatego w analizie rozważono rozwiązania systemowe mające na celu zrównoważenie wzrostu wydatków płatnika na terapię eltrombopagiem.

W analizie racjonalizacyjnej wskazano wielkość wydatków płatnika publicznego zaoszczędzonych w wyniku wprowadzenia nowej ustawy refundacyjnej (z dnia 12 maja 2011 roku), której wprowadzenie wraz z negocjacjami cenowymi Ministerstwa Zdrowia z podmiotami odpowiedzialnymi doprowadziło do zmniejszenia nakładów finansowych na refundację leków w Polsce. Rozważono wydatki w grupie limitowej 132.0, Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - inhibitory enzymów - doustne inhibitory aromatazy. W ramach analizy przedstawiono wielkość wydatków płatnika publicznego i pacjentów w 2011 roku (przed wprowadzeniem nowej ustawy refundacyjnej) oraz obliczono przyszłe wydatki płatnika publicznego i pacjentów po wprowadzeniu zmian w wykazie leków refundowanych podyktowanych aktualnymi (na dzień zakończenia analizy) aktami prawnym w tym zakresie [8]. W obliczeniach przyjęto, że sprzedaż inhibitorów aromatazy nie zmieni się w stosunku do sprzedaży z roku 2011. [9]

Poniżej przedstawiono wielkość prognozowanych oszczędności płatnika oraz wielkość prognozowanych oszczędności płatnika i pacjentów wynikających z wprowadzenia zmian w wykazie leków refundowanych wynikających z nowej ustawy refundacyjnej. Szczegółowe dane dotyczące wyceny poszczególnych preparatów oraz wielkości ich sprzedaży przedstawiono w pliku obliczeniowym analizy.

Tabela 3.
Oszczędności w grupie limitowej 132.0 wynikające z nowej ustawy refundacyjnej

Rok			
Średnia			
Oszczędności NFZ			
Minimum			
Oszczędności NFZ			
Maksimum			
Oszczędności NFZ			

4. PODSUMOWANIE

Prognozowany wzrost wydatków w latach [REDACTED] związany z pozytywną decyzją refundacyjną dla eltrombopagu wynosi ok [REDACTED] rocznie w przypadku refundacji ograniczonej do pacjentów po niepowodzeniu splenektomii oraz [REDACTED] rocznie w przypadku finansowania eltrombopagu również w populacji pacjentów z przeciwwskazaniami do zabiegu usunięcia śledziony.

Roczne oszczędności w grupie limitowej 132.0 związane z nową ustawą refundacyjną wynoszą ok [REDACTED]. Oznacza to, że zmiany na wykazie leków refundowanych wynikające z nowej ustawy refundacyjnej pozwolą na sfinansowanie eltrombopagu niezależnie od sposobu dookreślenia populacji refundacyjnej (z uwzględnieniem pacjentów z przeciwwskazaniami do splenektomii lub przy zawężeniu refundacji do osób po niepowodzeniu zabiegu usunięcia śledziony nieskutecznie leczonych aktualnie dostępnymi terapiami).

Tabela 4.
Podsumowanie wyników analizy

Rok	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Scenariusz I			
Wydatki	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Oszczędności	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Bilans	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Scenariusz II			
Wydatki	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Oszczędności	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Bilans	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

5. BIBLIOGRAFIA

1. ██████████ Analiza kliniczna eltrombopagu (Revolade®) w leczeniu opornych postaci pierwotnej małopłytkowości immunologicznej. 2012.
2. Leczenie samoistnej płamicy małopłytkowej - badanie ankietowe. 2009.
3. Schoonen WM, Kucera G, Coalson J, et al. Epidemiology of immune thrombocytopenic purpura in the General Practice Research Database. *British Journal of Haematology*. 2009; 145(2):235–244.
4. Abrahamson PE, Hall SA, Feudjo-Tepie M, et al. The incidence of idiopathic thrombocytopenic purpura among adults: a population-based study and literature review. *European Journal of Haematology*. 2009; 83(2):83–89.
5. Zawilska K. Samoistna płamica małopłytkowa – skala problemu. *Acta Haematologica Polonica*. 2009; 40(4):843–849.
6. Public summary of positive opinion for orphan designation of eltrombopag olamine for the treatment of idiopathic thrombocytopenic purpura. <http://www.ema.europa.eu/pdfs/human/comp/opinion/28794507en.pdf> (11.1.2010).
7. ██████████ Analiza wpływu na budżet płatnika refundacji eltrombopagu (Revolade®) w leczeniu opornych postaci pierwotnej małopłytkowości immunizacyjnej w ramach programu lekowego.
8. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2012 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 maja 2012 r. <http://www.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=q491&ms=383&ml=pl&mi=383&mx=0&mt=&my=419&ma=19796> (4.5.2012).
9. Wartość refundacji cen leków według kodów EAN (styczeń-grudzień 2011). Komunikat Departamentu Gospodarki Lekami NFZ. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2&artnr=4835> (15.5.2012).