



**Analiza wpływu na system ochrony zdrowia
finansowania produktu leczniczego Ruconest[®] (konestat alfa)
w ramach programu lekowego w Polsce w leczeniu ostrych,
zagrożających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego
u dorosłych chorych z dziedzicznym obrzękiem
naczynioruchowym wywołanym niedoborem
inhibitora esterazy C1**



Kraków, grudzień 2012



Ekspertyzę opracowano na zlecenie firmy

Swedish Orphan Biovitrum Sp. z o.o. Oddział w Polsce
ul. Wspólna 35 lok. 7
00-519 Warszawa

Adres korespondencyjny

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k.
Os. Mozarta 1/29
31 - 232 Kraków
e-mail: centrumhta@centrumhta.com
telefon: 0 607 345 792

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Spis treści

Indeks akronimów wykorzystanych w opracowaniu	5
Kluczowe informacje z analizy wpływu na system ochrony zdrowia	6
Streszczenie	8
1. Cel analizy wpływu na budżet	13
2. Problem decyzyjny	14
3. Metody przeprowadzania analizy wpływu na budżet	16
3.1. Oceniana interwencja	16
3.2. Strategia finansowania ze środków publicznych	16
3.3. Perspektywa analizy	17
3.4. Horyzont czasowy analizy	17
3.5. Porównywane scenariusze	18
3.6. Oszacowanie rocznej liczebności populacji	23
3.7. Ocena skuteczności klinicznej konestatu alfa, koncentratu inhibitora C1 oraz ikatybantu	30
3.8. Analiza kosztów (wydatki i przychody budżetowe)	33
3.9. Dyskontowanie	43
3.10. Metody przedstawiania wyników	44
3.11. Zbiorcze zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz ze wskazaniem zakresu niepewności	45
4. Wyniki analizy wpływu na budżet	51
4.1. Wariant podstawowy – perspektywa płatnika publicznego	51
4.2. Wariant dodatkowy 1. - perspektywa płatnika publicznego	56
4.3. Wariant dodatkowy 2. - perspektywa płatnika publicznego	57
4.4. Wariant podstawowy – perspektywa pacjenta	59
4.5. Wariant dodatkowy 1. - perspektywa pacjenta	61
4.6. Wariant dodatkowy 2. - perspektywy pacjenta	63
4.7. Wyniki dotyczące zużytych zasobów	65
5. Wyniki analizy wrażliwości	70
6. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych	75
7. Walidacja wyników	76
7.1. Walidacja wewnętrzna	76
7.2. Walidacja konwergencji	76
7.3. Walidacja zewnętrzna	77
8. Aspekty etyczne i społeczne	79
9. Dyskusja	82
10. Analiza racjonalizacyjna	84
11. Wnioski końcowe	85
12. Bibliografia	88
13. Aneks	92

[REDACTED]

[REDACTED]

13.2. Model decyzyjny 94

13.3. Strategia wyszukiwania 97

[REDACTED]

Spis tabel 101

Spis wykresów 102

Indeks akronimów wykorzystanych w opracowaniu

Akronim	Rozwinięcie skrótu (pełna nazwa) Polski odpowiednik
95 CI	ang. <i>confidence interval (CI)</i> 95% przedział ufności
amp.	ampułka
amp.-strz.	ampułko-strzykawka
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
fiol.	fiolka
HAE	ang. <i>Hereditary Angioedema</i> dziedziczny obrzęk naczynioruchowy
j.	jednostek
kg	kilogram
m.c.	masa ciała
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
nr	numer
POZ	podstawowa opieka zdrowotna
sc.	scenariusz

Kluczowe informacje z analizy wpływu na system ochrony zdrowia

- ❖ Celem analizy była ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego i pacjenta podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego NFZ stosowania produktu leczniczego Ruconest® (substancja czynna konestat alfa; opakowanie: jedna fiolka zawierająca 2100 jednostek substancji konestat alfa) w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

❖ **Przedstawione wyniki analizy wpływu na budżet sugerują, że istnieją przesłanki do podjęcia finansowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego w Polsce w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1.**

Streszczenie

Celem analizy była ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego i pacjenta podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego NFZ stosowania produktu leczniczego Ruconest® (substancja czynna konestat alfa; opakowanie: jedna fiolka zawierająca 2100 jednostek substancji konestat alfa) w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1.

Dokonano również analizy konsekwencji organizacyjnych dla systemu ochrony zdrowia oraz możliwych implikacji etycznych i społecznych.

[Redacted text block]

Wynikiem analizy były, przedstawione dla każdego z lat horyzontu czasowego: koszty przeznaczone na refundację produktu leczniczego Ruconest®, wydatki przeznaczone na refundację, zmiany kosztów pomiędzy scenariuszem nowym i scenariuszem istniejącym.

W niniejszej analizie przyjęto horyzont czasowy na poziomie 3 lat, obejmując lata od 2012 r. (rok „0”, referencyjny) do 2014 r. (2. rok realizacji proponowanego programu zdrowotnego), z okresem realizacji proponowanego programu lekowego wynoszącym 2 lata (zakłada się podjęcie decyzji dotyczącej rozważanego problemu decyzyjnego pod koniec 2012 roku i w ramach scenariusza nowego realizację proponowanego programu lekowego od 2013 roku – pierwszy rok refundacji). W sytuacji wprowadzenia finansowania konestatu alfa w rozważanym wskazaniu, przy jednoczesnym braku zmian w statusie refundacyjnym opcjonalnych technologii medycznych, należy spodziewać się, że ustalenie równowagi na rynku nastąpi w pierwszym roku horyzontu czasowego (lekarz nie będzie narażał życia pacjenta poprzez oczekiwanie na zgodę na import docelowy preparatu Berinert® P; pierwszy rok refundacji produktu leczniczego Ruconest® uwzględni przekwalifikowanie się wszystkich pacjentów z analizowanej populacji na stosowanie tego leku w programie lekowym NFZ).

Populację rozważaną w niniejszej analizie stanowili dorośli pacjenci (dorośli chorzy na dziedziczny obrzęk naczynioruchowy wywołany niedoborem inhibitora esterazy C1) z ostrym, zagrażającym życiu, napadem obrzęku naczynioruchowego.

[Redacted text block]

W analizie przyjęto perspektywę finansową płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia) oraz osobno pacjenta. Zużycie zasobów wyznaczono w oparciu o przeprowadzone badanie kwestionariuszowe oraz opublikowane wyniki badań klinicznych. Koszty (wartości monetarne) przedstawiają stan na grudzień 2012 roku.

[REDACTED]

Ze względu na brak możliwości jednoznacznego porównania skuteczności klinicznej leków stosowanych w analizowanym wskazaniu [3][4] w ramach analizy wpływu na budżet obliczenia przeprowadzono w wariantach różniących się skutecznością produktów leczniczych; analizowano wariant:

[REDACTED]

W związku z niepewnością oszacowań wartości niektórych parametrów przeprowadzono jednokierunkową analizę wrażliwości. Przeprowadzono również analizę wariantów skrajnych (warianty: minimalny i maksymalny) będącą wielokierunkową analizą wrażliwości. W ramach analizy wrażliwości modyfikowano założenia (określając górne oraz dolne granice niepewności wartości) dotyczące: wielkości populacji docelowej, kosztów jednostkowych, skuteczności klinicznej rozważanych produktów leczniczych, zużytych zasobów oraz rozwoju sytuacji na rynku ujętych technologii medycznych.

Wszystkie obliczenia przeprowadzono z wykorzystaniem skonstruowanego na potrzeby niniejszej analizy modelu decyzyjnego (Microsoft® Office Excel 2007 w tym *Visual Basic for Applications*). Model poddano szerokiej walidacji.

Niniejsza analiza jest zgodna z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. [14], Rozporządzeniem Ministra Zdrowia [61] oraz Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych przeprowadzania oceny technologii medycznych [1].

Wyniki jakościowe

Analiza wpływu na budżet wykazała, że wprowadzenie finansowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego w rozważanym wskazaniu wiąże się z oszczędnościami (tj. koszty realizacji scenariusza nowego były niższe niż koszty realizacji scenariusza istniejącego) zarówno z perspektywy płatnika publicznego, jak i pacjenta.

Wyniki ilościowe

Analiza wpływu na budżet (wariant podstawowy) wykazała, że realizacja nowego scenariusza zakładającego finansowanie ze środków publicznych preparatu Ruconest® w ramach programu lekowego w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1 generuje oszczędności z perspektywy płatnika publicznego wynoszące:



[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wyniki analizy wrażliwości, wyniki wariantów skrajnych (minimalnego i maksymalnego) z perspektywy pacjenta oraz wyniki skrajnego wariantu maksymalnego z perspektywy płatnika publicznego potwierdziły stabilność wniosków jakościowych płynących z analizy wpływu na budżet. W każdym z tych wariantów rozważanych w analizie wrażliwości koszty scenariusza nowego były mniejsze od kosztu scenariusza istniejącego, co oznacza, że płatnik publiczny może spodziewać się oszczędności z tytułu wprowadzenia finansowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego w rozważanym wskazaniu.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

analizy podstawowej.

Argumenty przemawiające za refundacją

Za podjęciem decyzji o objęciu produktu leczniczego Ruconest® finansowaniem ze środków publicznych w ramach programu lekowego w rozważanym wskazaniu przemawiają następujące argumenty:

- wprowadzenie programu lekowego zapewni pacjentom, w sytuacji bezpośredniego zagrożenia życia, jakim może być ostry napad obrzęku naczyńioruchowego, szybki dostęp do skutecznej [3] technologii lekowej; obecnie chorzy z rozważanym wskazaniem stosują produkty lecznicze sprowadzone w ramach procedury importu docelowego, która może wpływać na brak pełnej kontroli zagrażającego życiu napadu HAE (np. w sytuacji brak odpowiedniej ilości leku wynikającego np. z opóźnienia w jego dostarczeniu),
- zgodnie z wytycznymi polskimi i zagranicznymi produkt leczniczy Ruconest® jest zalecany do stosowania w rozważanym wskazaniu [29][33][34][36][37],
- przeprowadzona analiza wpływu na budżet wykazała, że podjęcie finansowanie preparatu Ruconest® w ramach programu lekowego NFZ w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczyńioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczyńioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1 generuje oszczędności z perspektywy płatnika publicznego oraz pacjenta.

Przeprowadzona analiza ekonomiczna wykazała, że oceniana interwencja spełnia kryteria świadczenia gwarantowanego przedstawione w Ustawie z dnia 25 czerwca 2009 r. [15]:

-
- wpływa na poprawę zdrowia obywateli przy uwzględnieniu wskaźników zapadalności, chorobowości lub śmiertelności określonych na podstawie aktualnej wiedzy medycznej (badania kliniczne [38][40][48] oraz publikacje [29][30]),
 - cechuje ją oparta na wiarygodnych dowodach naukowych skuteczność kliniczna przy akceptowalnym poziomie bezpieczeństwa w odniesieniu do porównywalnej technologii medycznej (istniejąca praktyka kliniczna lub technologia potencjalnie mogąca zastąpić ocenianą interwencję) [3],
 - w ramach analizy ekonomicznej określono akceptowalny w warunkach polskich stosunek kosztów z perspektywy płatnika za świadczenia medyczne do uzyskiwanych efektów zdrowotnych w przypadku zastosowania produktu leczniczego Ruconest® w porównaniu do braku leczenia (odpowiednik placebo z badań klinicznych) oraz wykazano, że stosowanie produktu leczniczego Ruconest® finansowanego na zasadach proponowanych przez Podmiot odpowiedzialny jest tańsze od komparatorów stanowiących aktualną praktykę kliniczną [4].

W ramach oceny aspektów etycznych i społecznych dotyczących rozważanej decyzji zwrócono uwagę na możliwość:

- zapewnienia równego dostępu do świadczeń spełniających warunki świadczeń gwarantowanych wśród pacjentów z analizowanej populacji oraz
- poprawy satysfakcji z leczenia wśród analizowanych pacjentów.

Przedstawione wyniki analizy wpływu na budżet sugerują, że istnieją ekonomiczne, społeczne i etyczne przesłanki do podjęcia finansowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego w Polsce w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1.

1. Cel analizy wpływu na budżet

Celem analizy wpływu na budżet była ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego (Narodowy Funduszu Zdrowia) i pacjenta podjęcia decyzji o finansowaniu w ramach programu lekowego w Polsce produktu leczniczego Ruconest® (substancja czynna konestat alfa; opakowanie: jedna fiolka zawierająca 2100 jednostek konestatu alfa) stosowanego w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u dorosłych pacjentów z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1.

Dokonano również analizy konsekwencji organizacyjnych dla systemu ochrony zdrowia oraz możliwych implikacji etycznych i społecznych.

2. Problem decyzyjny

Problem decyzyjny niniejszej analizy dotyczy finansowania ze środków publicznych w ramach programu lekowego produktu leczniczego Ruconest® (konestat alfa) w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczyńioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczyńioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1.

Dziedziczny obrzęk naczyńioruchowy (ang. *Hereditary Angioedema*, HAE) jest chorobą uwarunkowaną genetycznie, której podłożem jest niedobór lub brak inhibitora składowej dopełniacza – białka C1 [20]. Charakterystycznymi objawami choroby są ostre napady wolno (do 24 godzin) rosnącego obrzęku o różnej częstości i nasileniu [24], występujące w tkance podskórnej i podśluzówkowej, bóle brzucha oraz epizody obrzęku górnych dróg oddechowych, mogące stanowić poważne zagrożenie dla życia chorego [20]. Głównym zagrożeniem związanym z dziedzicznym obrzękiem naczyńioruchowym są śmiertelne napady obrzęku krtani, występujące zwłaszcza u chorych w pierwszym ataku choroby [64] i w przypadkach nieprawidłowego rozpoznania tego schorzenia [65]. Umieralność w wyniku ostrych napadów obrzęku krtani i związanymi z nimi zaburzeniami oddychania szacuje się na 15-33% [66], [67]. Dziedziczny obrzęk naczyńioruchowy jest schorzeniem mającym charakter nawracający – napady pojawiają się w różnych odstępach czasowych u poszczególnych chorych i mogą być wywoływane przez różne czynniki [23].

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Jednocześnie szacunkowa liczba chorych w Polsce może wynosić od 500 do 700 osób [26], co może wynikać z faktu zaniżenia szacunków dotyczących rozpoznania schorzenia (u wielu osób, u których w rzeczywistości powinna zostać postawiona diagnoza w kierunku dziedzicznego obrzęku naczyńioruchowego, nie nastąpił dotychczas wystarczająco silny napad, który pozwalałby na diagnozę choroby, albo została wykonana błędna interpretacja objawów, co wiąże się z błędnym zdiagnozowaniem chorego).

Według wyników badania kwestionariuszowego oraz publikacji [28][29][30], aktualna praktyka kliniczna leczenia ostrych napadów obrzęku naczyńioruchowego (u pacjentów z dziedzicznym obrzękiem naczyńioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1) opiera się na podawaniu pacjentowi inhibitora esterazy C1. Obecnie w Polsce nie jest dostępny refundowany preparat zawierający inhibitor esterazy C1. Powszechnie stosowany jest produkt leczniczy Berinert® P

3. Metody przeprowadzania analizy wpływu na budżet

3.1. Oceniana interwencja

Analizowaną technologią lekową jest stosowanie produktu leczniczego Ruconest[®] (opakowanie: 1 fiolka zawierająca 2100 jednostek konestatu alfa) zgodnie ze wskazaniem rejestracyjnym (produkt leczniczy Ruconest[®] posiada jedno wskazanie rejestracyjne [53]).

Produkt leczniczy Ruconest[®] jest wskazany w leczeniu ostrych napadów obrzęku naczynioruchowego u osób dorosłych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym (HAE) wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1 [53].

Szczegółowy opis interwencji przedstawiono w analizie problemu decyzyjnego [2].

3.2. Strategia finansowania ze środków publicznych

Oceniono, że najlepszą strategią refundacyjną będzie finansowanie ze środków publicznych produktu leczniczego Ruconest[®] w programie lekowym NFZ. Za finansowaniem produktu leczniczego Ruconest[®] w ramach programu lekowego przemawiają następujące argumenty:

- rozważane wskazanie - dziedziczny obrzęk naczynioruchowy jest chorobą rzadką,
- konieczność zapewnienia szybkiego dostępu pacjentom do terapii niwelującej bezpośrednio zagrożenie życia i zdrowia pacjentów związane z ostrym napadem obrzęku naczynioruchowego,
- dożylna forma podania produktu leczniczego Ruconest[®],
- konieczność podawania preparatu pod nadzorem wysokowykwalifikowanego i doświadczonego personelu medycznego,
- konieczność monitorowania stanu pacjenta po podaniu leku,
- relatywnie wysokie koszty refundacji stosowania produktu leczniczego Ruconest[®],
- ograniczenie prawdopodobieństwa stosowania produktu leczniczego Ruconest[®] poza rozważanym wskazaniem (zastosowanie produktu leczniczego Ruconest[®] jedynie u pacjentów wymagających podawania rzezonowanego produktu; kontrola wydatków płatnika publicznego),
- ekspert w dziedzinie alergologii (prof. dr hab. n. med. Krystyna Obtulowicz) wskazała program lekowy jako właściwe narzędzie do finansowania produktu leczniczego Ruconest[®].

Szczegółową analizę warunków i strategii finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Ruconest[®] (zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia [61]) przedstawiono w analizie problemu decyzyjnego [2].

3.3. Perspektywa analizy

Zgodnie z Ustawą o refundacji leków z dnia 12 maja 2011 r. [14], Rozporządzeniem Ministra Zdrowia [61] oraz Wytycznymi AOTM [1] niniejsza analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy płatnika publicznego (NFZ; podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych ze środków publicznych). Dodatkowo, w związku ze współpłaceniem pacjenta za produkty lecznicze sprowadzane w ramach procedury importu docelowego, tj. ponoszenia opłaty ryczałtowej (3,20 zł, zgodnie z art.6 pkt. 2 Rozporządzenia Ministra Zdrowia [61]), przeprowadzono osobne obliczenia z perspektywy pacjenta.

3.4. Horyzont czasowy analizy

Zgodnie z wytycznymi oceny technologii medycznych (Wytyczne AOTM) horyzont analizy wpływu na budżet powinien obejmować przynajmniej 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych [1] lub przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku.

W niniejszej analizie przyjęto horyzont czasowy na poziomie 3 lat, obejmujący lata 2012-2014, z okresem realizacji proponowanego programu lekowego wynoszącym 2 lata (zakłada się podjęcie decyzji dotyczącej rozważanego problemu decyzyjnego pod koniec 2012 roku, z okresem obowiązywania od stycznia 2013 r.).

W sytuacji realizacji programu lekowego NFZ umożliwiającego stosowanie konestatu alfa w rozważanym wskazaniu (w pierwszym roku horyzontu czasowego; rok 2013), przy jednoczesnym braku zmian w statusie refundacyjnym opcjonalnych technologii medycznych, należy spodziewać się, że ustalenie równowagi na rynku nastąpi w pierwszym roku horyzontu czasowego (lekarz nie będzie narażał życia pacjenta poprzez oczekiwanie na zgodę na import docelowy preparatu Berinert® P). Dwuletni horyzont analizy jest w zupełności wystarczający do uzyskania fazy stabilnego rozwoju analizowanego rynku sprzedaży i tym samym pełnego przedstawienia konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego i pacjenta w przypadku podjęcia rozważanej decyzji (obserwowane zmiany w wysokości wydatków z budżetu płatnika publicznego w latach 2013 - 2014 wynikają wyłącznie ze zmiany wielkości analizowanej populacji chorych, przy braku zmiany udziału ocenianej technologii lekowej w analizowanym rynku sprzedaży).

W ramach analizy przedstawiono też obliczenia dla 2012 roku, przy czym obrazują one sytuację aktualną (brak finansowania produktu leczniczego Ruconest® w programie lekowym) i należy je

traktować jako zgodne z §6. ust 1 pkt 3 Rozporządzenia Ministra Zdrowia [61] referencyjne nakłady płatnika publicznego i pacjenta na leczenie analizowanego schorzenia.

3.5. Porównywane scenariusze

W ramach niniejszej analizy porównano dwa scenariusze sytuacyjne skonstruowane w oparciu o najbardziej prawdopodobne zbiory zdarzeń wynikające z rozważanych (przyjętych w niniejszej analizie) zmian w statusie refundacyjnym rozważanych technologii lekowych.

[REDACTED]

Wybór kategorii kosztów ujętych w analizie został przeprowadzony w oparciu o wyniki badania kwestionariuszowego oraz informacje podane w publikacjach dotyczących rozważanego problemu zdrowotnego i zidentyfikowanych w ramach przeglądu literatury [28][29][30].

Poniższa tabela przedstawia szczegóły alternatywnych scenariuszy.

[REDACTED]

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

Określenie udziałów rynkowych

[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 text]

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

[Redacted text]

[Redacted text]

[Large redacted block]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

3.6. Oszacowanie rocznej liczebności populacji

W poniższym rozdziale przedstawiono (zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia [61] art. 6.1. ust. 1. oraz 2.) oszacowania rocznej liczebności populacji:

- obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia (produkt leczniczy Ruconest® w leczeniu ostrych, zagrażającym życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego) może zostać zastosowana (tj. zakres rozpowszechnienia analizowanego problemu zdrowotnego),
- docelowej, wskazanej we wniosku,
- w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana,
- w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją w ramach programu lekowego.

Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Uważa się, że szacunki dotyczące diagnozy schorzenia są zaniżone ze względu na fakt, iż wiele osób, które w rzeczywistości powinny zostać zdiagnozowane w kierunku dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego, nie przeszła dotychczas wystarczająco silnego napadu (który pozwalałby na diagnozę choroby) albo została wykonana błędna interpretacja objawów (co wiąże się z błędnym zdiagnozowaniem chorego).

[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]

Poniższa tabela przedstawia prognozy dotyczące liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia (produkt leczniczy Ruconest® w leczeniu ostrych, zagrażającym życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego) może zostać zastosowana w latach objętych horyzontem czasowym niniejszej analizy.

obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia (produkt leczniczy Ruconest®) może zostać zastosowana

Liczebność populacji docelowej

Populację docelową zdefiniowano zgodnie ze wskazaniami rejestracyjnymi do stosowania produktu leczniczego Ruconest® [53][54]. W analizie nie rozważano stosowania produktu leczniczego Ruconest® poza wskazaniami rejestracyjnymi.

Populację docelową stanowili dorośli pacjenci (dorośli chorzy na dziedziczny obrzęk naczynioruchowy wywołany niedoborem inhibitora esteraazy C1), wymagający leczenia w związku z ostrym, zagrażającym życiu, epizodem obrzęku naczynioruchowego.

W analizie rozważano populację otwartą, tj. poszczególni chorzy są włączani do populacji, albo wyłączani, zależnie od tego, czy aktualnie spełniają zdefiniowane kryteria włączenia.

Poniższa tabela przedstawia prognozy dotyczące liczebności populacji dorosłych chorych na dziedziczny obrzęk naczynioruchowy (docelowa populacja wskazana we wniosku) w latach objętych horyzontem czasowym niniejszej analizy.

[Redacted]

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

[Redacted]

Liczebność populacji w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

[Redacted]

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

[Redacted]

Liczebność populacji w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu pozytywnej decyzji refundacyjnej

Oszacowań liczebności populacji, która będzie stosować produkt leczniczy Ruconest[®] dokonano w oparciu o udział produktu leczniczego Ruconest[®] w rynku poszczególnych technologii lekowych (por. 3.5. Porównywane scenariusze oraz liczebność populacji docelowej (por. Tabela 8).

[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 text]

Liczba ostrych napadów w populacji docelowej

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

Poniższa tabela przedstawia metodę wyznaczenia parametrów epidemiologicznych służących do konstrukcji prognoz na okres horyzontu czasowego analizy.

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

Obliczona na podstawie przedstawionych wyżej informacji liczebność pacjentów z analizowanej populacji docelowej oraz liczba ostrych, zagrażających życiu napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego w horyzoncie analizy została przedstawiona w poniższej tabeli.



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

[Redacted text]

[Redacted text]

Liczba ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego (u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1) może ulegać niewielkim zmianom z powodu zmiennej u danego chorego i trudnej do przewidzenia częstości i nasilenia objawów [Redacted]

[Redacted text]

[REDACTED]

Należy zwrócić uwagę, że wartości (liczby ostrych, zagrażających życiu, napadów) odpowiadające wariantowi minimalnemu i maksymalnemu są wartościami skrajnymi, a ich wystąpienie w rzeczywistości jest bardzo mało prawdopodobne.

3.7. Ocena skuteczności klinicznej konestatu alfa, koncentratu inhibitora C1 oraz ikatybantu

Zarówno w Charakterystyce Produktu Leczniczego Ruconest[®] (konestat alfa) [53] jak i Charakterystyce Produktu Leczniczego Firazyr[®] (ikatybant) [55] podana jest informacja, że w przypadku braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie można podać kolejną dawkę produktu. W Charakterystyce Produktu Leczniczego Berinert[®] P (koncentrat inhibitora C1) [52][56], nie zamieszczono informacji o możliwości podania kolejnej dawki, jednak wytyczne leczenia ostrych napadów obrzęku naczynioruchowego zalecają stosowanie kolejnej dawki w przypadku utrzymywania się objawów dłużej niż dwie godziny [30].

W związku z powyższym przyjęto, że w przypadku niedostatecznej odpowiedzi na leczenie (nie dotyczy wariantu dodatkowego 1. „jedynie pierwsze podanie”) podana zostanie pacjentowi kolejna dawka danego preparatu [30][53][55], tj. pacjent otrzymujący koncentrat inhibitora C1, konestat alfa albo ikatybant w przypadku niedostatecznej odpowiedzi na leczenie otrzyma drugą (kolejną) dawkę, odpowiednio koncentratu inhibitora C1, konestatu alfa albo ikatybantu. Założenie powyższe nie odpowiada w pełni warunkom przeprowadzania badań klinicznych (z których pochodzą dane dotyczące skuteczności), a co za tym idzie może nie być adekwatne do wyników dotyczących skuteczności po drugim podaniu leków (szczegóły modelowania przebiegu leczenia przedstawia rozdział 13.2 Model decyzyjny, str. 94 oraz analiza ekonomiczna [4]). Jednak w związku z celem modelowania, jakim jest przełożenie warunków eksperymentalnych na realia praktyki klinicznej, poczynione założenia zbliżają oszacowania kosztów, do kosztów potencjalnie obserwowanych w realnej praktyce klinicznej.

Prawdopodobieństwo niezyskania odpowiedzi na leczenie dla produktu Firazyr[®] przyjęto na podstawie punktu końcowego: „brak klinicznie istotnego obniżenia nasilenia objawów napadu w ciągu 4 godzin od podania leku” (klinicznie istotne obniżenie nasilenia objawów zdefiniowano jako zmniejszenie wartości o od 20 do 30 mm według skali VAS, w porównaniu do wartości początkowej według skali VAS) [42]. Należy zaznaczyć, że zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego

Firazyr® podanie następnej dawki produktu zalecane jest w przypadku braku wystarczającej poprawy w ciągu 6 godzin od podania pierwszej dawki [55]. Jednak w badaniu klinicznym nie oceniano obniżenia intensywności objawów napadu po 6 godzinach od podania pierwszej dawki, w związku z czym przyjęto, że podanie po 6 godzinach odpowiadać będzie punktowi końcowemu: „brak klinicznie istotnego obniżenia nasilenia objawów napadu w ciągu 4 godzin od podania leku” [42].

W badaniu oceniającym skuteczność oraz bezpieczeństwo stosowania konestatu alfa (Ruconest®), punktem końcowym najbardziej zbliżonym, wobec tego przyjętym w niniejszej analizie ekonomicznej, do punktów ocenianych w badaniach dla koncentratu inhibitora C1 oraz ikatybantu było niepowodzenia leczenia (definiowane jako brak obniżenia nasilenia objawów według skali VAS w ciągu 4 godzin od podania leku, wzrost nasilenia według skali VAS w ciągu 4 godzin od podania leku lub podanie innego leku wpływającego na skuteczność konestatu alfa) [38].

Ze względu na brak możliwości jednoznacznego porównania skuteczności klinicznej leków stosowanych w analizowanym wskazaniu [3][4] w ramach analizy wpływu na budżet obliczenia przeprowadzono w wariantach różniących się skutecznością produktów leczniczych; analizowano wariant:

- podstawowy; wariant, w którym uwzględniono konieczność podawania następnych dawek w sytuacji braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie po podaniu pierwszych dawek; wariant uwzględnia skuteczność z adjustacją względem efektu placebo (wyniki adjustowanego porównania pośredniego efektywności klinicznej);
- wariant dodatkowy 1. „jedynie pierwsze podanie”; wariant, w którym zachodzi brak konieczności podawania następnych dawek w sytuacji braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie po podaniu pierwszych dawek (hipotetyczny wariant zakładający 100% odpowiedź u wszystkich pacjentów po pierwszej dawce leków);
- wariant dodatkowy 2. „bez adjustacji względem efektu placebo”; wariant, w którym uwzględniono konieczność podawania następnych dawek w sytuacji braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie po podaniu pierwszych dawek; wariant uwzględnia skuteczność bez adjustacji względem efektu placebo (wyniki naiwnego porównania pośredniego efektywności klinicznej).

Poniższe tabele przedstawiają wartości dotyczące skuteczności poszczególnych technologii lekowych, przyjęte w poszczególnych wariantach analizy wpływu na budżet. Szczegółowe wyniki kliniczne dotyczące uwzględnionych punktów końcowych przedstawiono w analizie ekonomicznej [4].

[Redacted header text]

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

[Redacted footer text]

[Redacted header text]

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

[Redacted footer text]

[Redacted text block]

3.8. Analiza kosztów (wydatki i przychody budżetowe)

Celem przeprowadzenia analizy kosztów była identyfikacja kategorii kosztowych (wraz z przypisaniem tym kategoriom wartości monetarnych) powiązanych z przedstawionym problemem decyzyjnym.

W ramach analizy kosztów uwzględniono kategorie kosztowe, które, zgodnie z Wytycznymi AOTM [1], były istotne z perspektywy płatnika publicznego lub pacjenta.

[Redacted content]

Wymienione powyżej kategorie kosztowe należą do kategorii kosztów bezpośrednich medycznych, które to kategorie stanowią najważniejsze składowe kosztów leczenia pacjentów w analizowanym wskazaniu.

W niniejszej analizie nie ujęto kosztów bezpośrednich niemedycechnych (np. kosztów transportu chorego, kosztów specjalnej diety, kosztów utrzymania infrastruktury ochrony zdrowia) z powodu braku danych na temat tej kategorii kosztów. W niniejszym opracowaniu nie uwzględniono również

kosztów pośrednich w obrębie sektora świadczeń zdrowotnych (np. koszty ponoszone w zyskanych latach życia), ani poza sektorem świadczeń zdrowotnych (np. koszty utraconej produktywności z powodu występowania napadów). Nie odnaleziono informacji o wpływie choroby na innych członków społeczeństwa, ani wpływu choroby na produktywność (zarówno chorego, jak i innych członków społeczeństwa). W związku z brakiem danych, pozwalających na oszacowanie kosztów pośrednich, odstąpiono od przeprowadzenia analizy z perspektywy społecznej. [REDACTED]

3.8.1. Cena produktów leczniczych

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



[Redacted header text]

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

[Redacted footer text]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[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 text block]

W ramach analizy wrażliwości wprowadzono zmianę wartości następujących parametrów służących obliczeniu zużycia rozważanych produktów leczniczych:

[Redacted text block]

Szczegóły założeń rozważanych w ramach analizy wrażliwości przedstawiono w rozdziale 3.11. Zbiorcze zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz ze wskazaniem zakresu niepewności (str. 45).

3.8.3. Koszt świeżo mrożonego osocza

[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]

3.8.4. Koszty świadczeń ambulatoryjnych oraz szpitalnych rozliczanych jako świadczenia towarzyszące leczeniu ostrego, zagrażającego życiu, napadu obrzęku naczynioruchowego u pacjentów z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1

Koszty świadczeń ambulatoryjnych oraz szpitalnych odpowiadających zarówno aktualnej praktyce klinicznej, jak i w przypadku potencjalnego wprowadzenia programu zdrowotnego, określono w [REDACTED]

[Redacted Title]						
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted Summary Row]						[Redacted]

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

██
██
██

Podanie preparatów świeżo mrożonego osocza odbywa się w ramach hospitalizacji i dotyczy świadczenia „hospitalizacja dłuższa niż 1 dzień” (kod grupy JGP: S52; nazwa świadczenia: niedobory odporności inne niż HIV/ AIDS /5.51.01.0016052).

██
██
██

W ramach analizy wrażliwości modyfikowano wartości odsetków pacjentów korzystających z danych świadczeń ambulatoryjnych lub szpitalnych podczas podawania produktów leczniczych stosowanych w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego. Szczegóły założeń przedstawiono w rozdziale 3.11. Zbiorcze zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz ze wskazaniem zakresu niepewności (por. Tabela 20).

3.8.5. Koszt badań diagnostycznych

Aktualnie badania diagnostyczne przeprowadzane są w ramach świadczeń ambulatoryjnych i szpitalnych związanych z podaniem leków w trakcie leczenia ostrego, zagrażającego życiu, napadu obrzęku naczynioruchowego (por. ██████████, str. 40).

W przypadku stworzenia programu lekowego: „Leczenie ostrych, zagrażających życiu napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym” badania diagnostyczne mogłyby być rozliczane w ramach stworzonego świadczenia tzw. ryczału za diagnostykę [63]. W niniejszej analizie przyjęto, że w ramach programu lekowego wprowadzony zostanie ryczałt za diagnostykę (ryczałt roczny). ██████████

██
██
██
██

Koszt podania w trybie ambulatoryjnym leków niefinansowanych w ramach programu lekowego jest najniższym kosztem podania (jaki może towarzyszyć leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów),

w skład którego wchodzi także koszty badań diagnostycznych [13]. Zatem koszt badań diagnostycznych w przeliczeniu na jeden napad u jednego pacjenta leczonego w ramach programu lekowego (u którego wystąpił co najmniej jeden ostry, zagrażający życiu, napad obrzęku naczynioruchowego) [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Należy podkreślić, że przyjęty w opracowaniu koszt badań diagnostycznych jest wystarczający do monitorowania stanu pacjenta poddanego leczeniu zagrażającego życiu napadów obrzęku naczynioruchowego.

[REDACTED]

3.9. Dyskontowanie

Zgodnie z Wytycznymi AOTM [1] w analizie wpływu na budżet nie przeprowadzono dyskontowania kosztów, ponieważ analiza tego typu przedstawia przepływ środków finansowych w czasie.

3.10. Metody przedstawiania wyników

W ramach analizy wpływu na budżet przedstawiono:

- oszacowanie rocznej liczebności populacji (por. 3.6. Oszacowanie rocznej liczebności populacji),
- oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (por. 3.6. Oszacowanie rocznej liczebności populacji),
- oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii (por. 4. Wyniki analizy wpływu na budżet),
- ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją produktu Ruconest® (por. 4. Wyniki analizy wpływu na budżet),
- ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją produktu Ruconest® (por. 4. Wyniki analizy wpływu na budżet),
- oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy porównywanymi scenariuszami, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii (por. 4. Wyniki analizy wpływu na budżet),
- minimalny i maksymalny wariant oszacowania (por. 4. Wyniki analizy wpływu na budżet),
- zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań oraz prognoz w ramach niniejszej analizy (por. 3.11. Zbiorcze zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz ze wskazaniem zakresu niepewności; por. Tabela 20).

Głównym wynikiem analizy wpływu na budżet było przedstawienie wielkości inkrementalnych w kolejnych latach horyzontu czasowego. Wielkość inkrementalna stanowiła różnicę pomiędzy kosztem związanym z realizacją scenariusza nowego i kosztem związanym z realizacją scenariusza istniejącego.

Przedstawiono zarówno całkowity, jak i inkrementalny wpływ na budżet, dla każdego roku w badanym horyzoncie czasowym. W oddzielnych rozdziałach przedstawiono prognozowane zużycie zasobów.

Koszty związane z realizacją danego scenariusza obliczono przemnażając prognozowaną liczbę ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego przez średni koszt leczenia jednego ostrego napadu oszacowany dla danego scenariusza.

Wszystkie obliczenia przeprowadzono przy użyciu oprogramowania Microsoft® Office Excel 2007 z wykorzystaniem VBA (ang. *Visual Basic for Application*). Opis modelu decyzyjnego wykorzystanego w ramach analizy wpływu na budżet przedstawiono w rozdziale 13.2 Model decyzyjny, str. 94.

3.11. Zbiorcze zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz ze wskazaniem zakresu niepewności

W ramach niniejszego rozdziału przedstawiono zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz z zakresem niepewności. Zakres niepewności wszystkich parametrów uwzględnionych w opracowaniu został określony na podstawie danych literaturowych - nie przyjęto arbitralnych założeń dotyczących testowanego w opracowaniu zakresu niepewności.



Jednokierunkową oraz wielokierunkową (analiza wariantów skrajnych) analizę wrażliwości przeprowadzono dla wariantu podstawowego. W ramach analizy wrażliwości modyfikowano założenia (określając górne oraz dolne granice niepewności wartości) dotyczące: kosztów jednostkowych, skuteczności klinicznej rozważanych produktów leczniczych, zużytych zasobów oraz rozwoju sytuacji na rynku ujętych technologii medycznych. Zadaniem analizy wrażliwości wariantów skrajnych była weryfikacja stabilności wnioskowania w ramach analizy podstawowej, przy testowaniu najbardziej prawdopodobnego zakresu zmienności wartości parametrów niepewnych.

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

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

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

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

3.11. Zbiorcze zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz ze wskazaniem zakresu niepewności



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

4. Wyniki analizy wpływu na budżet

4.1. Wariant podstawowy – perspektywa płatnika publicznego

Poniżej zaprezentowano wyniki analizy wpływu na budżet wariantu podstawowego (najbardziej prawdopodobnego; dla optymalnego, minimalnego i maksymalnego wariantu populacji) z perspektywy płatnika publicznego. Wariant podstawowy uwzględnia skuteczność z adjustacją względem efektu placebo.

Przedstawiono także wyniki analizy wpływu na budżet według ogólnych kategorii kosztów, tj. kosztów produktów leczniczych, kosztów podania produktów leczniczych, kosztów badań diagnostycznych oraz według kosztów produktów leczniczych i preparatów.

[REDACTED]										
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	I	[REDACTED]			[REDACTED]			[REDACTED]		
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]				[REDACTED]				[REDACTED]			
[REDACTED]												
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]												
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]												
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[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 text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

4.2. Wariant dodatkowy 1. - perspektywa płatnika publicznego

Poniżej zaprezentowano wyniki analizy wpływu na budżet wariantu dodatkowego 1. (dla optymalnego, minimalnego i maksymalnego wariantu populacji) z perspektywy płatnika publicznego. Wariant dodatkowy nie uwzględnia konieczności podawania następných dawek w sytuacji braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie po podaniu pierwszych dawek.

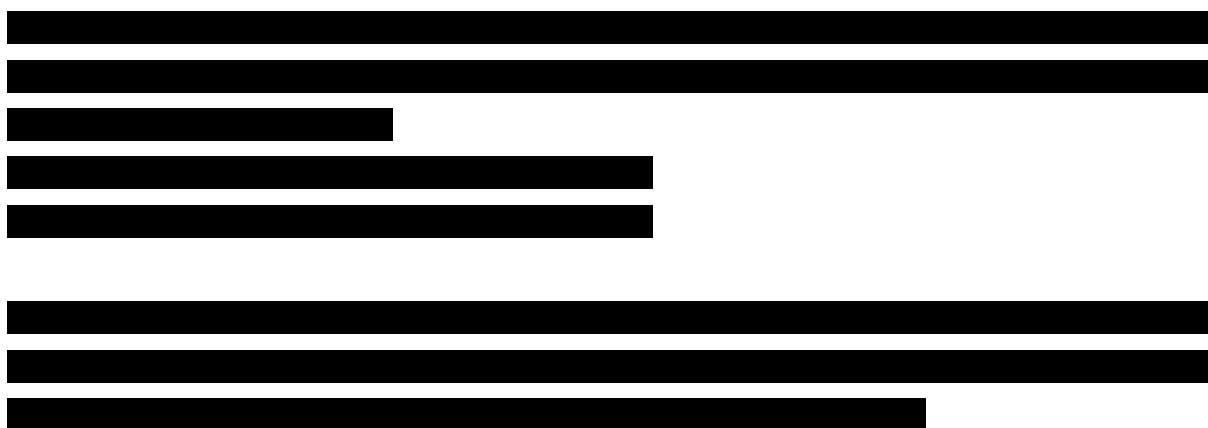
[Redacted]										
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
I	I	[Redacted]			[Redacted]			[Redacted]		
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted content]

4.3. Wariant dodatkowy 2. - perspektywa płatnika publicznego

Poniżej zaprezentowano wyniki analizy wpływu na budżet wariantu dodatkowego 2. (dla optymalnego, minimalnego i maksymalnego wariantu populacji) z perspektywy płatnika publicznego. Wariant dodatkowy uwzględnia konieczności podawania następnych dawek w sytuacji braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie po podaniu pierwszych dawek oraz uwzględnia skuteczność bez adjustacji względem efektu placebo.

[REDACTED]										
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	I	[REDACTED]			[REDACTED]			[REDACTED]		
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[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. Wariant podstawowy – perspektywa pacjenta

Poniżej zaprezentowano wyniki analizy wpływu na budżet wariantu podstawowego (najbardziej prawdopodobnego; dla optymalnego, minimalnego i maksymalnego wariantu populacji) z perspektywy pacjenta. Wariant podstawowy uwzględnia skuteczność z adjustacją względem efektu placebo.

Przedstawiono także wyniki analizy wpływu na budżet według kategorii kosztów różniących z perspektywy pacjenta.

[Redacted]										
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
I	I	[Redacted]			[Redacted]			[Redacted]		
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[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]

4.5. Wariant dodatkowy 1. - perspektywa pacjenta

Poniżej zaprezentowano wyniki analizy wpływu na budżet wariantu dodatkowego 1. (dla optymalnego, minimalnego i maksymalnego wariantu populacji) z perspektywy pacjenta. Wariant dodatkowy nie uwzględnia konieczności podawania następných dawek w sytuacji braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie po podaniu pierwszych dawek.

[Redacted]										
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
I	I	[Redacted]			[Redacted]			[Redacted]		
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[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. Wariant dodatkowy 2. - perspektywy pacjenta

Poniżej zaprezentowano wyniki analizy wpływu na budżet wariantu dodatkowego 2. (dla optymalnego, minimalnego i maksymalnego wariantu populacji) z perspektywy pacjenta. Wariant dodatkowy uwzględnia konieczności podawania następnych dawek w sytuacji braku dostatecznej odpowiedzi na leczenie po podaniu pierwszych dawek oraz uwzględnia skuteczność bez adjustacji względem efektu placebo.

[Redacted]										
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
I	I	[Redacted]			[Redacted]			[Redacted]		
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted content]

4.7. Wyniki dotyczące zużytych zasobów

Poniżej zaprezentowano zużycie zasobów według poszczególnych technologii lekowych ujętych w analizie dla wariantu optymalnego analizy wpływu na budżet.

4.7. Wyniki dotyczące zużytych zasobów



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



I									
[Redacted]									
[Redacted]									
[Redacted]									
[Redacted]									

4.7. Wyniki dotyczące zużytych zasobów



I									



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

5. Wyniki analizy wrażliwości

Poniżej zaprezentowano wyniki analizy wrażliwości przeprowadzonej z perspektywy płatnika publicznego oraz pacjenta dla wariantu podstawowego. Szczegółowy opis założeń i wartości testowanych w ramach analizy wrażliwości przedstawiono w rozdziale 3.11. Zbiorcze zestawienie parametrów uwzględnionych w opracowaniu wraz ze wskazaniem zakresu niepewności (str. 45).

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]			[REDACTED]		
		[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

5. Wyniki analizy wrażliwości

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]			[Redacted]		
		[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	1	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]			[REDACTED]		
		[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Wyniki analizy wrażliwości oraz wariantu maksymalnego z perspektywy płatnika publicznego potwierdziły stabilność wniosków jakościowych płynących z wariantu optymalnego. [REDACTED]

[REDACTED]

Wyniki analizy wrażliwości z perspektywy pacjenta potwierdziły stabilność wniosków jakościowych płynących z wariantu podstawowego. W każdym z wariantów rozważanych w analizie wrażliwości koszty scenariusza nowego były mniejsze od kosztu scenariusza istniejącego, co oznacza, że pacjent może spodziewać się oszczędności z tytułu wprowadzenia finansowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego w rozważanym wskazaniu.

6. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja o finansowaniu produktu leczniczego Ruconest® ze środków publicznych w ramach programu lekowego w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1 zapewni chorym, w sytuacji zagrożenia życia, jakim może być ostry napad obrzęku naczynioruchowego, dostęp do skutecznej [3] technologii lekowej. Obecnie chorzy w rozważanym wskazaniu stosują produkty lecznicze sprowadzone w ramach procedury importu docelowego.

W sytuacji, gdy obecnie chorzy w analizowanym wskazaniu są leczeni, podjęcie decyzji o finansowaniu stosowania produktu leczniczego Ruconest® nie nakłada szczególnych wymogów na pacjenta czy świadczeniodawcę.

Należy oczekiwać, że wymogi dotyczące wyposażenia placówek medycznych (sprzęt, personel i inne) w przypadku podawania produktu leczniczego Ruconest® są spełnione z racji obecnie stosowanych alternatywnych (wobec produktu leczniczego Ruconest®) produktów w analizowanym wskazaniu.

Uważa się, że decyzja o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Ruconest® w analizowanym wskazaniu nie będzie wiązała się z dodatkowymi nakładami finansowymi ze strony Narodowego Funduszu Zdrowia z tytułu finansowania dodatkowych wymagań związanych z tą technologią medyczną takich jak: transport pacjenta do wysoko wyspecjalizowanego ośrodka medycznego, na wizyty związane z podawaniem ocenianego produktu leczniczego, finansowania zakupu dodatkowego sprzętu specjalistycznego, szkoleń pracowników służby zdrowia itp.

Decyzja odnośnie finansowania produktu leczniczego Ruconest® ze środków publicznych nie powinna wpłynąć na wydatki publiczne w sektorach innych niż ochrona zdrowia. Wprowadzenie finansowania ocenianej technologii lekowej nie powinno wpłynąć na zasiłki chorobowe, renty oraz inne koszty, ponoszone w ramach ubezpieczenia społecznego (nie istnieją dowody naukowe pozwalające stwierdzić istotne różnice w skuteczności klinicznej pomiędzy ocenianą technologią lekową a komparatorami stosowanymi w ramach istniejącej praktyki klinicznej [3][4]).

7. Walidacja wyników

7.1. Walidacja wewnętrzna

Skonstruowany na potrzeby analizy model poddano walidacji wewnętrznej w celu uniknięcia błędów związanych z wprowadzaniem danych oraz strukturą modelu. Model systematycznie testowano, wprowadzając zerowe i skrajne wartości wejściowe i uzyskując oczekiwane wyniki symulacji. Testowano również powtarzalność wyników przy użyciu równoważnych wartości wejściowych – nie zaobserwowano istotnych różnic w wynikach poszczególnych symulacji. Kod programu analizowany był w poszukiwaniu błędów niezależnie przez 3 analityków.

7.2. Walidacja konwergencji

Mając na uwadze ograniczenia analizy, przeszukano medyczne bazy danych w celu odnalezienia analiz wpływu na budżet przeprowadzonych dla problemu decyzyjnego analogicznego, jak w niniejszej analizie. Uwzględniono bazę danych Medline; wykorzystano również przeglądarkę Google (szczegóły zamieszczono w Aneksie, patrz rozdział 13.3 Strategia wyszukiwania, str. 97).

Nie odnaleziono analiz wpływu na budżet, których wyniki można byłoby porównać z wynikami niniejszego opracowania.



7.3. Walidacja zewnętrzna

[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]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted content]

8. Aspekty etyczne i społeczne

Przeprowadzona analiza wpływu na budżet wykazała, że finansowanie produktu leczniczego Ruconest® w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczyńioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczyńioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1, w ramach programu lekowego wiąże się z oszczędnościami ze strony płatnika publicznego, w odniesieniu do kosztów generowanych przez scenariusz istniejący, w którym pacjenci sprowadzają produkty lecznicze (stosowane w rozważanym wskazaniu) w ramach procedury importu docelowego.

Po przeanalizowaniu problemu stwierdzono, że wprowadzenie finansowania ze środków publicznych leczenia z zastosowaniem produktu leczniczego Ruconest® (w ramach programu lekowego) nie będzie wymagało zmian w prawie, a jedynie zmian w dokumentach wykonawczych (odpowiednie Obwieszczenie Ministra Zdrowia i Zarządzenie Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia).

Nie zidentyfikowano aspektów ingerencji w prawa pacjenta czy w szeroko rozumiane prawa człowieka wobec wprowadzenia finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej.

Na skutek założeń przyjętych w niniejszej analizie nie była faworyzowana żadna grupa pacjentów.

Mając na uwadze specyfikę analizowanego stanu chorobowego (niska chorobowość), istnieje duża korzyść kliniczna dla wąskiej grupy pacjentów rozumiana, jako szybki dostęp do leku w przypadku zagrożenia życia pacjenta w porównaniu do sytuacji aktualnej (produkt leczniczy Berinert® P sprowadzany w ramach procedury importu docelowego).

Oceniana interwencja spełnia kryteria świadczenia gwarantowanego, przedstawione w najnowszej Ustawie z dnia 25 czerwca 2009 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz ustawy o cenach [15]:

- wpływa na poprawę zdrowia obywateli poprzez poprawę jakości życia przy uwzględnieniu priorytetów zdrowotnych oraz wskaźników zapadalności, chorobowości lub śmiertelności określonych na podstawie aktualnej wiedzy medycznej,
- zmniejsza skutki następstw choroby i stanu zdrowia, prowadzących do przedwczesnego zgonu pacjenta lub zmniejszenia jakości życia pacjenta [3].

Rozważana w niniejszym opracowaniu technologia lekowa nie powinna: powodować problemów społecznych, zagrażać niezakończonemu postępowaniu przez poszczególnych chorych, powodować stygmatyzacji pacjentów. Interwencja nie powinna również wywoływać lęku wśród chorych, ani powodować dylematów moralnych oraz stwarzać problemów dotyczących płci czy problemów

rodzinnych. Należy sądzić, że rozważana technologia lekowa w istotny sposób może wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej.

Prowadzenie terapii z zastosowaniem produktu leczniczego Ruconest[®], podobnie jak każda metoda leczenia, wymaga informowania pacjentów oraz uzyskania od nich zgody na rozpoczęcie leczenia, natomiast nie nakłada konieczności zapewniania chorym dodatkowej poufności postępowania.

Po przeprowadzeniu oceny aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu produktu leczniczego Ruconest[®] w ramach programu lekowego, nie zidentyfikowano przeciwników decyzji. Natomiast należy spodziewać się, że zwolennikami rozważanej decyzji mogą być, z racji łatwiejszego dostępu do leczenia, pacjenci oraz ich rodziny, a także lekarze (leczący chorych w rozważanym wskazaniu). Jednocześnie trudno określić stopień zaangażowania wymienionych grup społecznych w popieranie rzeszonej decyzji.

W poniższej tabeli, zawierającej analizę typu SWOT, przedstawiono podsumowanie wpływu wprowadzenia finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Ruconest[®] (na proponowanych warunkach).



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

9. Dyskusja

Dziedziczny obrzęk naczynioruchowy (HAE) jest chorobą o podłożu genetycznym, która występuje na skutek niedoboru lub braku inhibitora składowej dopełniacza – białka C1 [20]. Charakterystycznymi objawami choroby są ostre napady wolno (do 24 godzin) rosnącego obrzęku, występującego w tkance podskórnej i podśluzówkowej, bóle brzucha oraz epizody obrzęku górnych dróg oddechowych, mogące stanowić bezpośrednie zagrożenie dla życia chorego [20]. Napady obrzęku mogą charakteryzować się różną częstością i nasileniem [24].

Wyniki badania kwestionariuszowego oraz szereg publikacji [28][29][30] wskazują, że w Polsce aktualną praktykę kliniczną leczenia ostrych napadów obrzęku naczynioruchowego (u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1) stanowi podawanie pacjentowi inhibitora esterazy C1. Obecnie w Polsce nie jest dostępny refundowany preparat zawierający inhibitor esterazy C1. Powszechnie stosowany jest produkt leczniczy Berinert® P (zawierający inhibitor esterazy C1), dostępny w procedurze importu docelowego. W pojedynczych przypadkach stosowane są preparaty świeżo mrożonego osocza (w przypadku braku preparatów inhibitora esterazy C1) albo produkt leczniczy Firazyr® (w przypadku prowadzenia badań klinicznych).

W niniejszej analizie rozważano skutki finansowe wprowadzenia refundacji ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Ruconest® w leczeniu ostrych, zagrażających życiu napadów obrzęku naczynioruchowego chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1. Przyjęto zatem populację chorych wymagających natychmiastowej interwencji w związku z bezpośrednim zagrożeniem życia. W analizie przyjęto wprowadzenie stosowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego. Wprowadzenie programu lekowego zabezpieczyłoby pacjentom dostęp do leku ratującego życie, bez konieczności sprowadzania leku w ramach, rozciągniętej w czasie, procedury importu docelowego.

Przeprowadzone w niniejszej analizie wpływy na budżet obliczenia dostarczyły podstaw do stwierdzenia, że **wprowadzenie rzeczonego programu lekowego jest, z perspektywy płatnika publicznego oraz pacjenta, ekonomicznie uzasadnione. Leczenie chorych z rozważanym wskazaniem w ramach programu lekowego wiązało się z mniejszymi kosztami generowanymi w budżecie płatnika (zarówno płatnika publicznego, jak i pacjenta) w porównaniu do kosztów aktualnych (grudzień 2012).**

W analizie wpływu na budżet modelowanie rozwoju sytuacji, zarówno przy założeniu kontynuacji obecnego stanu, jak i wprowadzenia programu lekowego, opierało się na pewnych założeniach,

dotyczących konstrukcji najbardziej prawdopodobnych scenariuszy sytuacyjnych. Założenia te, wychodząc wprost z definicji prognozowania przyszłości, obarczone są niepewnością, stąd przeprowadzono szeroką analizę wrażliwości, sprawdzając tym samym wpływ zmian założeń na wyniki analizy.

[REDACTED]

Prognozy dotyczące udziałów poszczególnych technologii lekowych w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów również przyjęto na podstawie wyników badania kwestionariuszowego. Testowanie zmian poziomów udziałów, w możliwym zakresie zmian, nie wpłynęło na wnioski jakościowe z analizy w wariancie optymalnym.

Zużycie technologii lekowych oszacowano z wykorzystaniem wyników badania kwestionariuszowego oraz wyników badań klinicznych. Wykorzystanie wyników badań klinicznych mogło skutkować rozbieżnościami między przyjętymi założeniami, a realną praktyką kliniczną. Jednak alternatywne założenia dotyczące zużycia zasobów nie wpłynęły na wnioski jakościowe – finansowanie produktu leczniczego Ruconest® wciąż pozostawało ekonomicznie opłacalnym scenariuszem.

Dane płatnika publicznego, opublikowane w Sprawozdaniach z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia [12] (przedstawione w rozdziale 7.3. Walidacja zewnętrzna na str. 77 stronie niniejszego opracowania) sugerują, że są one zbliżone do kosztów scenariusza istniejącego z niniejszej analizy.

[REDACTED]

10. Analiza racjonalizacyjna

[Redacted text block]

[Redacted text block]

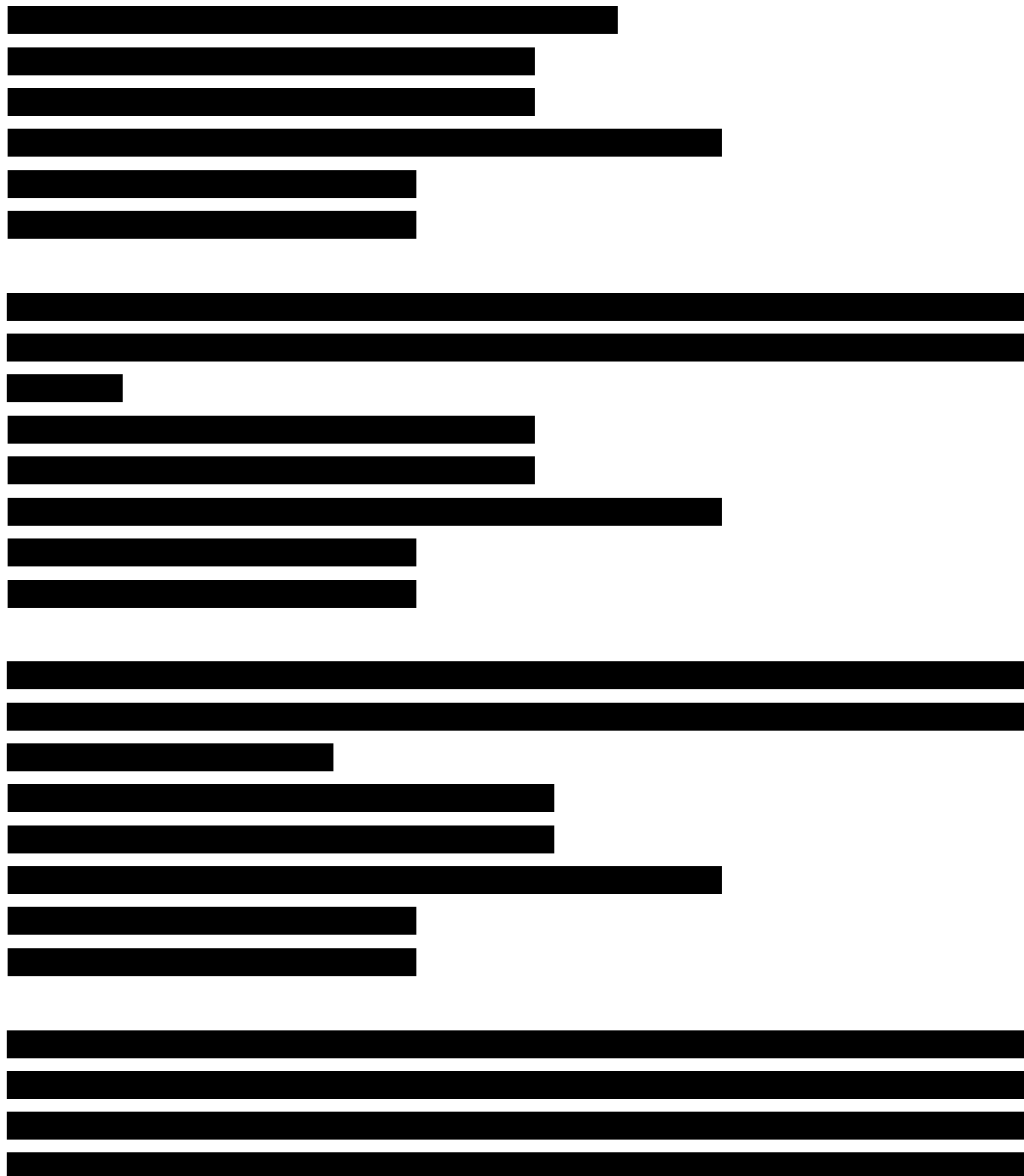
[Redacted text block]

[Redacted text block]

11. Wnioski końcowe

Wyniki analizy wpływu na budżet

Analiza wpływu na budżet (wariant podstawowy) wykazała, że realizacja nowego scenariusza zakładającego finansowanie ze środków publicznych preparatu Ruconest® w ramach programu lekowego w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Wnioski z analizy wrażliwości

Wyniki analizy wrażliwości, wyniki wariantów skrajnych (minimalnego i maksymalnego) z perspektywy pacjenta oraz wyniki skrajnego wariantu maksymalnego z perspektywy płatnika publicznego potwierdziły stabilność wniosków jakościowych płynących z analizy wpływu na budżet. [Redacted]

[Redacted text block]

[REDACTED]

Podsumowując, analiza wpływu na budżet wykazała, że wprowadzenie finansowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego w rozważanym wskazaniu powinno wiązać się z oszczędnościami (tj. koszty realizacji scenariusza nowego były niższe niż koszty realizacji scenariusza istniejącego).

Z perspektywy pacjenta w analizie wrażliwości (w tym w analizie wariantów skrajnych) nie stwierdzono zmiany wnioskowania płynącego z wariantu podstawowego analizy. W każdym z wariantów rozważanych w analizie wrażliwości koszty scenariusza nowego były mniejsze od kosztu scenariusza istniejącego, co oznacza, że pacjent może spodziewać się oszczędności z tytułu wprowadzenia finansowania produktu leczniczego Ruconest® w ramach programu lekowego w rozważanym wskazaniu.

Argumenty przemawiające za refundacją

Za podjęciem decyzji o objęciu produktu leczniczego Ruconest® finansowaniem ze środków publicznych w ramach programu lekowego w rozważanym wskazaniu przemawiają następujące argumenty:

- wprowadzenie programu lekowego zapewni pacjentom, w sytuacji bezpośredniego zagrożenia życia, jakim może być ostry napad obrzęku naczynioruchowego, szybki dostęp do skutecznej [3] technologii lekowej; obecnie chorzy z rozważanym wskazaniem stosują produkty lecznicze sprowadzone w ramach procedury importu docelowego, która może wpływać na brak pełnej kontroli zagrażającego życiu napadu HAE (np. w sytuacji brak odpowiedniej ilości leku wynikającego np. z opóźnienia w jego dostarczeniu),
- zgodnie z wytycznymi polskimi i zagranicznymi produkt leczniczy Ruconest® jest zalecany do stosowania w rozważanym wskazaniu [29][33][34][36][37],
- przeprowadzona analiza wpływu na budżet wykazała, że podjęcie finansowanie preparatu Ruconest® w ramach programu lekowego NFZ w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u chorych z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1 generuje oszczędności z perspektywy płatnika publicznego oraz pacjenta.

12. Bibliografia

- [1] Portal internetowy Agencji Oceny Technologii Medycznych. www.aotm.gov.pl (data ostatniej aktualizacji: 4.12.2012 r.).

[2] [Redacted]

[3] [Redacted]

[4] [Redacted]

- [5] Narodowy Bank Polski, Archiwalne kursy walut, Kursy średnie miesięczne 1993-2012, http://www.nbp.pl/home.aspx?f=/kursy/kursy_archiwum.html (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [6] Naczelna Izba Lekarska, BAROMETR PHARMAEXPERTA. Średnia marża apteczna, dane za lipiec-październik 2012 r., <http://www.nia.org.pl> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [7] Narodowy Fundusz Zdrowia, Katalog świadczeń do sumowania - załącznik nr 2 do Zarządzenia nr 11/2012/DZOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 28 lutego 2012 r.
- [8] Narodowy Fundusz Zdrowia, Informator o umowach, <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&-dzialnr=19&artnr=1483> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [9] Narodowy Fundusz Zdrowia, Katalog świadczeń i zakresów – leczenie szpitalne – programy zdrowotne (lekowe). Załącznik 1 do Zarządzenia Nr 66/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 19 października 2012 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe).
- [10] Narodowy Fundusz Zdrowia, Katalog ambulatoryjnych grup świadczeń specjalistycznych. Załącznik 5a do Zarządzenia Nr 71/2012/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 7 listopada 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna.
- [11] Narodowy Fundusz Zdrowia, Katalog grup - załącznik nr 1 do Zarządzenia nr 11/2012/DZOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 28 lutego 2012 r.
- [12] Narodowy Fundusz Zdrowia, Informacje o działalności Narodowego Funduszu Zdrowia. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=11> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [13] Narodowy Fundusz Zdrowia, Charakterystyka grup ambulatoryjnych świadczeń specjalistycznych. Załącznik nr 7 do Zarządzenia Nr 71/2012/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 7 listopada 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna.

-
- [14] 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 późn. zm.
- [15] Ustawa z dnia 25 czerwca 2009 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz ustawy ocenach. Dziennik Ustaw nr 118. Poz. 989.
- [16] Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz.U. 2004 nr 210 poz. 2135, <http://isip.sejm.gov.pl/DetailsServlet?id=WDU20042102135> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [17] Paragraf 2 artykułu 41, rozdziału 1, działu VIII Ustawy z dnia 11 marca 2004 r. o podatku od towarów i usług (Dz. U. z 2004 r., Nr 54, poz. 535, z późn. zm.), oraz załącznik 3 ww. ustawy, z pozycjami 72, 79, 83, 84, 86, 96, 97, 99, 100, 101, 102, 103, 104, 105, 106 i 107.
- [18] IMS Health Incorporated (or its affiliates), Polska na tle innych krajów EU. Analiza skutków wprowadzenia nowej ustawy na rynek farmaceutyczny. <http://www.senat.gov.pl/k7/kom/kgm/305b/2.pdf> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [19] Wypowiedź rzecznicy Małopolskiego Oddziału Narodowego Funduszu Zdrowia, notatka prasowa <http://dziennikpolski24.pl/pl/aktualnosci/kraj/1058342-puchna-i-miesiacami-czekaja-na-leki.html> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [20] Muszyńska A., Janocha E., Fal A.M. Dziedziczny obrzęk naczyńioruchowy – patofizjologia, genetyka, objawy kliniczne. Pol. Merk. Lek., 2008, XXV, 145, 90-93.
- [21] Obtulowicz K. Alergiczny obrzęk naczyńioruchowy: patomechanizm, rozpoznawanie i leczenie Alergologia. Immunologia 2007, tom 4, nr 3-4, 70-73.
- [22] Nowicki R. Obrzek naczyńioruchowy – angioedema. AAI 2006, 11(3), 115-121.
- [23] Muszyńska A., Fal A.M. Dziedziczny obrzęk naczyńioruchowy – leczenie. Pol Merk Lek. 2008; 145: 94-96.
- [24] Obtulowicz K. Dziedziczny obrzęk naczyńioruchowy. Alergia, choroby alergiczne, astma. tom 2. W: Fal A (red). Krakow: Wyd. Medycyna Praktyczna; 2011. s.313-320.
- [25] Hughes D.A., Tunnage B., Yeo S.T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? QJM. 2005 Nov;98(11):829-36. Epub 2005 Oct 3.
- [26] <http://www.hae.org.pl/> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [27] Obtulowicz K. Hereditary angioedema (HAE) w Polsce. Diagnostyka, rejestr i ośrodki leczenia. Alergologia Immunologia. 2006, 3:, 76-77.
- [28] Obtulowicz K. Obrzęk wrodzony na tle niedoboru C1 inhibitora. Problemy diagnostyczne i aktualne zasady leczenia. *Alergol. Immunol.* 2010 T. 7 nr 3-4, 86-88 .
- [29] Obtulowicz K. Sprawozdanie z konferencji międzynarodowej ekspertów ds. Hereditary Angioedema. Alergologia Immunologia, 2010, 7,3/4.
- [30] Muszyńska A., Fal A.M. Dziedziczny obrzęk naczyńioruchowy – leczenie. Pol Merk Lek. 2008; 145: 94-96.
- [31] Agencja Oceny Technologii Medycznych, Zlecenie Ministra Zdrowia, luty 2010, <http://www.aotm.gov.pl/index.php?id=206> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [32] Portal internetowy Rynek Zdrowia, <http://www.rynekzdrowia.pl/Farmacja/Rekomendacja-dla-ikatybantu-jeszcze-w-tym-roku,102475,6.html> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [33] Bowen T., Cicardi M., Farkas H., et al; 2010 International consensus algorithm for the diagnosis, therapy and management Allergy Asthma Clin Immunol. 2010, 28, 6(1):24.
-

-
- [34] Obtulowicz K., Porębski G., Stobiecki M.: Wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1 inhibitora. Diagnostyka, leczenie oraz opieka medyczna nad chorymi w Polsce. *AlergologiaImmunologia* 2009,6, 166-171.
- [35] Agostoni A., Aygoren-Pursun E., Binkley K.E. i wsp. Hereditary and acquired angioedema: problems and progress: proceedings of the third C1 esterase inhibitor deficiency workshop and beyond. *J. Allergy Clin. Immunol.*, 2004; 114 (3): 51-131.
- [36] Bowen T., Brosz J., Brosz K., Hebert J., Ritchie B. Management of hereditary angioedema: 2010 Canadian approach. *Allergy, Asthma & Clinical Immunology* 2010, 6:20.
- [37] Caballero T., et al. European consensus for gynecological and obstetric management of women with hereditary angioedema due to C1-Inhibitor deficiency (HAE): PREHAEAT. *J Allergy Clin Immunol.* 2007; S12.
- [38] Wyniki dla badania C1 1205-01 dostarczone przez Zamawiającego (date on file); RhC1INH (Ruconest®) vs placebo.
- [39] Badanie C1 1205-01: <http://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00225147> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [40] Wyniki dla badania C1 1304-01 dostarczone przez Zamawiającego (date on file); RhC1INH (Ruconest®) vs placebo.
- [41] Badanie C1 1304-01: <http://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00262301> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [42] Cicardi at al, Icatibant, a New Bradykinin-Receptor Antagonist, in Hereditary Angioedema, *N Engl J Med* 2010; 363:532-541 August 5, 2010 (badania FAST-1 i FAST-2).
- [43] Kunschak M et al.: A randomized, controlled trial to study the efficacy and safety of C1 inhibitor concentrate in treating hereditary angioedema. *Transfusion*, 1998; 38: 540:549.
- [44] Craig T. J. i Levy R. J., Wasserman R.L. et al. Efficacy of human C1 esterase inhibitor concentrate compared with placebo in acute hereditary angioedema attacks. *Journal of Allergy Clinical Immunology.* 2009,124(4).
- [45] Supplement do: Cicardi M, Banerji A, Bracho F, et al. Icatibant, a new bradykinin-receptor antagonist, in hereditary angioedema. *N Engl J Med* 2010; 363:532-41.
- [46] Waytes AT, F.S. Rosen, MM Frank; Treatment of hereditary angioedema with a vapor-heated C1 inhibitor concentrate. *The New England Journal of Medicine* . 1996, 334(25).
- [47] Choi G, Soeters M.R. i Farkas H. et al. Recombinant human C1-inhibitor in the treatment of acute angioedema attacks. *Transfusion* 2007, 46(7).
- [48] Wyniki z otwartej fazy badania C1 1205-01 OLE dostarczone przez Zamawiającego (data on file).
- [49] Wyniki z otwartej fazy badania C1 1304-01 OLE dostarczone przez Zamawiającego (data on file).
- [50] Baboeram A., Relan A., Hack E., et al. Immunogenicity assessment of recombinant human C1INH (rhC1INH).
- [51] Porębski G., Bilo B., Obtulowicz K.; Rekombinowany C1-inhibitor jest skuteczny w leczeniu ostrych napadów wrodzonego obrzęku naczynioruchowego – opis przypadków. *Przegląd lekarski* 2005, 62, 5.
- [52] CSL Behring. Berinert US Package Insert Revised: November 2009. 2009. Ref Type: Report, <http://www.fda.gov/downloads/BiologicsBloodVaccines/BloodBloodProducts/ApprovedProducts/LicensedPr oductsBLAs/FractionatedPlasmaProducts/UCM186268.pdf> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [53] Charakterystyka Produktu Leczniczego Ruconest®.
-

- [54] Community register of medicinal products for human use, http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=-pages/medicines/human/medicines/001223/human_med_001382.jsp&murl=menus/medicines/medicines.jsp&mid=WC0b01ac058001d124 (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [55] Charakterystyka Produktu Leczniczego Firazyry®.
- [56] Charakterystyka Produktu Leczniczego Berinert® P.
- [57] StatsDirect, <http://www.statsdirect.com/help/statsdirect.htm> (ostatni dostęp 4.12.2012 r.).
- [58] Stuart A, Ord JK. Kendall's Advanced Theory of Statistics (6th edition). London: Edward Arnold 1994.
- [59] Komunikaty Agencji Oceny Technologii Medycznych z 5 marca 2012 roku w sprawie obowiązującej wysokości prognozy kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, <http://www.aotm.gov.pl/index.php?id=56>.
- [60] Załącznik nr 1 obwieszczenia Prezesa Głównego Urzędu Statystycznego z dnia 31 października 2011 r. w sprawie szacunków wartości produktu krajowego brutto na jednego mieszkańca w latach 2007-2009. M.P. Nr 99, poz. 1003.
- [61] 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/wwwmz/index?mr=q491&ms=383&ml=pl&mi=383&mx=0&mt=&my=767&ma=019625> (data aktualizacji: 4.12.2012 r.).
- [62] Lumry W.R., Li H.H., Levy R.J. et al. Randomized placebo-controlled trial of the bradykinin B₂ receptor antagonist icatibant for the treatment of acute attacks of hereditary angioedema: the FAST-3 trial. *Ann. Allergy Asthma Immunol.* 2011;107: 529-537.
- [63] Narodowy Fundusz Zdrowia, Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenia szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe).
- [64] Bork K., Barnstedt S.E. Laryngeal edema and death from asphyxiation after tooth extraction in four patients with hereditary angioedema. *J. Am. Dent. Assoc.* 2003, 134(8): 1088-1094.
- [65] Zuraw B.L. Hereditary angioedema. *N. Engl. J. Med.* 2008, 359: 1027-1036.
- [66] Craig T., Riedl M., Dykewicz M.S., et al. When is prophylaxis for hereditary angioedema necessary? *Ann. Allergy Asthma Immunol.* 2009, 102(5): 366-372.
- [67] Zilberberg M.D., Nathanson B.H., Jacobsen T. et al. Descriptive epidemiology of hereditary angioedema emergency department visits in the United States, 2006-2007. *Allergy Asthma Proc.* 2011; 32: 390-394.
- [68] Orphanet Report Series: Rare Diseases collection. Prevalence of rare diseases: Bibliographic data. May 2011, nr 1, /www.orpha.net
- [69] Rozporządzenie (WE) nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady Unii Europejskiej z dnia 16 grudnia 1999 r. w sprawie sierocych produktów leczniczych.
- [70] Ofierska-Sujkowska G., Jagodzińska-Kalinowska K., Matusiewicz W. et al. Choroby rzadkie i sieroce produkty lecznicze ocena dostępności do leczenia w Polsce. *Lek w Polsce.* 2012; 03: 26-33

13. Aneks

[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 text block]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

13.2. Model decyzyjny

W celu oceny potencjalnych wyników tj. kosztów oraz efektów interwencji stosowanych w leczeniu populacji pacjentów z ostrymi, zagrażającymi życiu, napadami obrzęku naczynioruchowego, na potrzeby analizy wpływu na budżet sporządzono prosty model decyzyjny.

Punktem wejściowym do modelu jest podanie produktu leczniczego pacjentowi z ostrym, zagrażającym życiu, napadem obrzęku naczynioruchowego (chory z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1). Następnie, jeśli pacjent nie osiągnął odpowiedzi na leczenie, podawana jest druga dawka danego produktu.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

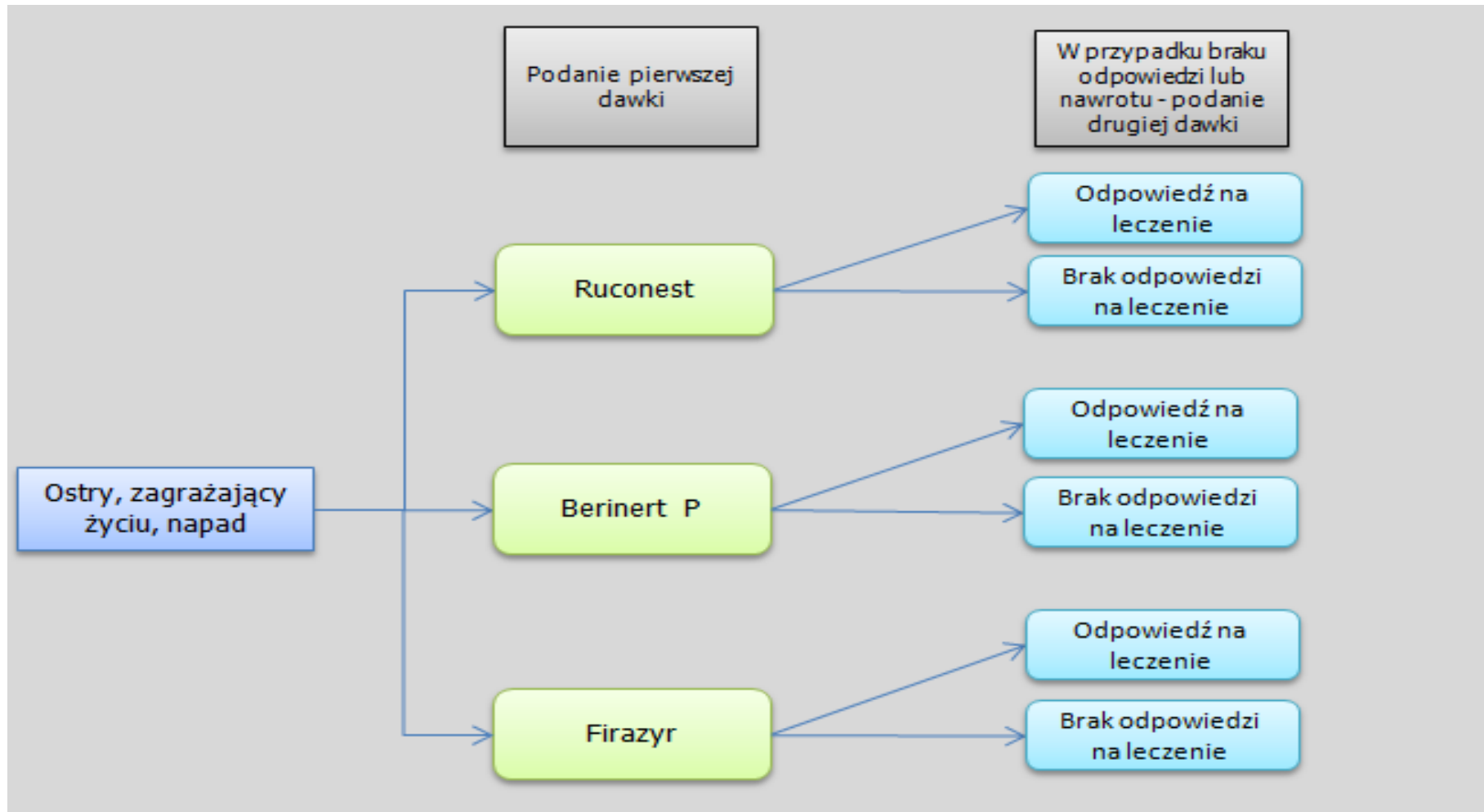


Zgodnie z Charakterystykami Produktów Leczniczych oraz publikacji dotyczących praktyki klinicznej, przyjęto, że w przypadku niedostatecznej odpowiedzi na leczenie (w niniejszej analizie – w przypadku nieuzyskania odpowiedzi na leczenie), podana zostanie pacjentowi kolejna dawka danego preparatu [53][55][56], tj. pacjent otrzymujący koncentrat inhibitora C1, konestat alfa albo ikatybant w przypadku niedostatecznej odpowiedzi na leczenie otrzyma drugą (kolejną) dawkę, odpowiednio koncentratu inhibitora C1, konestatu alfa albo ikatybantu.

Powyższe założenie nie odpowiada w pełni warunkom badań klinicznych, a co za tym idzie może nie być adekwatne do wyników dotyczących skuteczności (skuteczności po drugim podaniu leków). Jednak w związku z celem modelowania, jakim jest przełożenie warunków eksperymentalnych na realia praktyki klinicznej, poczynione założenia zbliżają oszacowani kosztów, do tych potencjalnie występujących w realnej praktyce klinicznej. Jednocześnie, w związku z brakiem, w publikacjach opisujących wyniki badań klinicznych, danych dotyczących skuteczności następných (drugich) dawek, tj. skuteczności dotyczących prawdopodobieństwa odpowiedzi na leczenia po podaniu drugiej dawki, w modelu przyjęto, że po podaniu drugich dawek produktów leczniczych Ruconest® i Berinert® P nie jest wymagane podanie trzeciej dawki.

W modelu przyjęto, że maksymalnie po dwóch podaniach produktów Ruconest®, Berinert® P oraz Firazyri® następuje wyleczenie. Poniższy rysunek przedstawia schemat modelu decyzyjnego wykorzystanego w ramach analizy wpływu na budżet.

Rysunek 1. Struktura modelu decyzyjnego wykorzystanego w obliczeniach na potrzeby analizy wpływu na budżet.



13.3. Strategia wyszukiwania

Poniższa tabel przedstawia strategię oraz wyniki wyszukiwania analiz kosztów oraz analiz wpływu na budżet. Ostatnie wyszukiwanie przeprowadzono 04.12.2012 roku.

Nie odnaleziono analiz wpływu na budżet, których wyniki można byłoby porównać z wynikami niniejszego opracowania.

Tabela 36. Strategia wyszukiwania w bazie PubMed (Medline).

Obszar znaczeniowy	Nr	Frazy wyszukiwania	Liczba wyników
Analizy ekonomiczne	#1	Search (("Cost-Benefit Analysis"[mh]) OR (economic*[tiab]) OR (cost[tiab]) OR (costs[tiab]) OR ("cost-effectiveness"[tiab]) OR (CEA[tiab]) OR (ICER[tiab]) OR (LYG[tiab]) OR (QALY[tiab]) OR ("quality-adjusted life year"[tiab]) OR ("life-years gained"[tiab]) OR (cost-utility[tiab]) OR (CUA[tiab]) OR (ICUR[tiab]) OR (cost-benefit[tiab]) OR (CBA[tiab]) OR (Cost-minimization[tiab]) OR (CMA[tiab]) OR (pharmacoeconomic*[tiab]) OR (pharmaco-economic*[tiab]) OR (finance*[tiab]) OR (budget*[tiab])) OR ((BIA[tiab]) OR (model*[tiab]) OR ("decision tree"[tiab]) OR (deterministic[tiab]) OR (probabilistic[tiab]) OR (Markov[tiab]) OR (simulation[tiab]) OR (microsimulation[tiab]) OR ("Monte Carlo"[tiab]) OR (DES[tiab]) OR (willingness-to-pay[tiab]))	1 611 338
Analizy kosztów	#2	Search ("Costs and Cost Analysis"[Mesh]) OR ("Cost"[tiab]) OR ("Costs"[tiab]) OR ("Pricing"[tiab]) OR ("Expenditure"[tiab]) OR ("Expenditures"[tiab]) OR ("Illness Burdens"[tiab]) OR ("Illness Burden"[tiab]) OR ("Burden of Illness"[tiab])	310 492
Wskazanie (dziedziczny obrzęk naczynioruchowy)	#3	Search ("Angioedemas, Hereditary"[mh]) OR ("Hereditary Angioedema"[tiab]) OR ("Hereditary Angioedemas"[tiab]) OR ("Hereditary Angioedemas") OR ("Angioneurotic Edema"[tiab]) OR ("Angioneurotic Edemas"[tiab]) OR ("Hereditary Angioneurotic"[tiab]) OR ("Hereditary angio-oedema"[tiab]) OR (HAE[tiab])	2 544
Interwencja	#4	Search ("conestat alfa"[all]) OR ("complement C1 inhibitor protein"[mh]) OR ("C1 inhibitor protein"[tiab]) OR ("C1-inhibitor protein"[tiab]) OR ("recombinant human C1 inhibitor"[tiab]) OR ("recombinant human C1-inhibitor"[tiab]) OR ("esterase inhibitor"[tiab]) OR ("Serpine"[tiab]) OR ("plasma protease C1 inhibitor"[tiab]) OR ("plasma protease C1-inhibitor"[tiab]) OR (Ruconest[all]) OR (Rhucin[all]) OR (rhC1INH[tiab]) OR ("C1-INH"[tiab]) OR ("C1 INH"[tiab])	4 051
Wskazanie (rozszerzone; obrzęk naczynioruchowy)	#5	Search ("Angioedema"[mh]) OR (Angioedema*[tiab]) OR ("Quincke's Edema"[tiab]) OR ("Quincke Edema"[tiab]) OR ("Quinckes Edema"[tiab]) OR ("Angioneurotic Edema"[tiab]) OR ("Angioneurotic Edemas"[tiab]) OR ("Giant Urticaria"[tiab]) OR ("Giant Urticarias"[tiab])	4 236
Lokalizacja	#6	Search (Poland[Mesh]) OR (Poland[tiab]) OR (polish[tiab]) OR ("East Europe"[tiab]) OR (polish[la]) OR (Poland[pl]) OR (Poland[ad]) OR (Polska[ad]) OR (Krakow[ad]) OR (Cracow[ad]) OR (Warszawa[ad]) OR (Warsaw[ad]) OR (Poznan[ad]) OR (Torun[ad]) OR	280 710

Obszar znaczeniowy	Nr	Frazy wyszukiwania	Liczba wyników
		(Bydgoszcz[ad]) OR (Wroclaw[ad]) OR (Bialystok[ad]) OR (Lublin[ad]) OR Lodz[ad]) OR (Lodz[ad]) OR (Lublin[ad])	
Analizy ekonomiczne i interwencja	#8	Search #1 AND #4	535
Analizy ekonomiczne i wskazanie rozszerzone	#9	Search #1 AND #5	86
Analizy ekonomiczne i wskazanie (HAE)	#10	Search #1 AND #3	105
Analizy kosztów i interwencja	#11	Search #2 AND #4	14
Analizy kosztów i wskazanie rozszerzone	#12	Search #2 AND #5	34
Analizy kosztów i wskazanie (HAE)	#13	Search #2 AND #3	23

Data ostatniego wyszukiwania: 04.12.2012 roku.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]		[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Spis tabel

Tabela 1. Technologie medyczne uwzględnione w ramach porównanych scenariuszy.....	19
Tabela 2. Udziały poszczególnych technologii lekowych w aktualnej praktyce leczenia ostrych, zagrażających życiu epizodów obrzęku naczynioruchowego w scenariuszu istniejącym.	20
Tabela 3. Udziały poszczególnych technologii lekowych w proponowanej praktyce leczenia ostrych, zagrażających życiu epizodów obrzęku naczynioruchowego w scenariuszu nowym.	21
Tabela 4. Udziały poszczególnych technologii lekowych w proponowanej praktyce leczenia ostrych, zagrażających życiu epizodów obrzęku naczynioruchowego; scenariusz nowy; analiza wrażliwości.....	22
.....	
.....	
.....	22
Tabela 6. Parametry wykorzystane przy szacowaniu liczebności poszczególnych populacji.....	24
Tabela 7. Prognozowana wielkość liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia (produkt leczniczy Ruconest®) może zostać zastosowana w kolejnych latach analizy.....	25
Tabela 8. Prognozowana wielkość liczebności populacji docelowej, wskazanej we wniosku w kolejnych latach analizy.	26
Tabela 9. Liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana w kolejnych latach analizy; scenariusz istniejący.	26
Tabela 10. Liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu pozytywnej decyzji refundacyjnej w kolejnych latach analizy; scenariusz nowy.	27
Tabela 11. Parametry wykorzystane przy szacowaniu prognozowanej rocznej liczby ostrych, zagrażających życiu napadów obrzęku naczynioruchowego w 2012 roku.	28
Tabela 12. Liczba ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego w horyzoncie czasowym analizy wśród dorosłych pacjentów.....	29
.....	
.....	
.....	32
.....	
.....	32
.....	35
.....	
.....	37
.....	39
Tabela 18. Koszt świadczeń towarzyszących podaniu produktów leczniczych stosowanych w leczeniu ostrych, zagrażających życiu napadów obrzęku naczynioruchowego u pacjentów z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1 – istniejąca praktyka kliniczna.	40
Tabela 19. Koszt świadczeń towarzyszących podaniu produktów leczniczych stosowanych w leczeniu ostrych, zagrażających życiu, napadów obrzęku naczynioruchowego u pacjentów z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym wywołanym niedoborem inhibitora esterazy C1 – potencjalne wprowadzenie programu lekowego.....	41
Tabela 20. Wartości przyjęte w ramach analizy wpływu na budżet oraz w ramach analizy wrażliwości.	46
Tabela 21. Założenia przyjęte w ramach analizy wariantów skrajnych.	50
Tabela 22. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne z tytułu realizacji porównywanych scenariuszy w wariantie podstawowym z perspektywy płatnika publicznego.	52
Tabela 23. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne według ogólnych kategorii kosztów w wariantie podstawowym; perspektywa płatnika publicznego.	53

Tabela 24. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne według kosztów produktów leczniczych i preparatów w wariacie podstawowym; perspektywa płatnika publicznego.	54
Tabela 25. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne z tytułu realizacji porównywanych scenariuszy w wariacie dodatkowym 1. z perspektywy płatnika publicznego.	56
Tabela 26. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne z tytułu realizacji porównywanych scenariuszy w wariacie dodatkowym 2. z perspektywy płatnika publicznego.	58
Tabela 27. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne z tytułu realizacji porównywanych scenariuszy w wariacie podstawowym z perspektywy pacjenta.	60
Tabela 28. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne z tytułu realizacji porównywanych scenariuszy w wariacie dodatkowym 1. z perspektywy pacjenta.....	62
Tabela 29. Koszty całkowite oraz zmiany inkrementalne z tytułu realizacji porównywanych scenariuszy w wariacie dodatkowym 2. z perspektywy pacjenta.....	64
Tabela 30. Zużyte zasoby według poszczególnych technologii lekowych, świadczeń ambulatoryjnych i szpitalnych oraz diagnostycznych.	66
Tabela 31. Wyniki analizy wrażliwości wariantu podstawowego z perspektywy płatnika publicznego i pacjenta.	71
.....	
.....	77
Tabela 33. Analiza SWOT.	81
.....	
.....	92
.....	
.....	93
Tabela 36. Strategia wyszukiwania w bazie PubMed (Medline).....	98
.....	100

Spis wykresów

Wykres 1. Udziały poszczególnych technologii w ramach porównywanych scenariuszy.	21
---	----

Informacja o Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k.

www.centrumhta.com

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k. jest profesjonalnym ośrodkiem analitycznym, zajmującym się oceną efektywności klinicznej oraz efektywności kosztowej procedur medycznych. Centrum skupia się na ocenie wartości klinicznej i konsekwencji finansowych stosowanych procedur medycznych, z wykorzystaniem nowoczesnych narzędzi analitycznych: **Medycyny Opartej na Dowodach Naukowych (EBM)** oraz **Oceny Technologii Medycznych (HTA)**.

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k. współpracuje z grupą kilkunastu konsultantów zajmujących się oceną efektywności klinicznej na podstawie wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych (EBM), Oceną Technologii Medycznych (HTA) bądź farmakoekonomiką; głównym konsultantem jest dr n. med. Paweł Kawalec, który usługami doradczymi w powyższym zakresie zajmuje się od ponad ośmiu lat, współpracując w międzyczasie z kilkunastoma firmami farmaceutycznymi i realizując dla nich ponad 300 projektów, głównie dotyczących oceny efektywności klinicznej oraz opłacalności leków.

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k. zapewnia szybką realizację zleceń, wysoką jakość usług oraz konkurencyjne ceny. Gwarantujemy wykonanie zleceń zgodnie z wymogami wiarygodności: w przypadku analiz efektywności klinicznej, analiz farmakoekonomicznych oraz analiz finansowych zgodnie z **Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM; www.aotm.gov.pl)**.

Założone we wrześniu 2005 roku Centrum HTA zajmuje się usługami konsultingowymi dotyczącymi rynku farmaceutycznego w Polsce. Działalność firmy obejmuje szerokie spektrum usług doradczych dotyczących efektywności leków oraz produktów medycznych a także rynku farmaceutycznego w Polsce.

Produkty oferowane przez Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k.:

- **Charakterystyka segmentu rynku farmaceutycznego w Polsce,**
- **Pełny raport HTA** obejmujący:
 - analizę efektywności klinicznej określonego produktu w porównaniu z wybranymi komparatorami,
 - analizę efektywności kosztów (opłacalności) określonego produktu w porównaniu z wybranymi komparatorami,
 - analizę finansowego wpływu decyzji o refundacji określonego leku na budżet płatnika publicznego w Polsce.
- **Przegląd systematyczny** dotyczący efektywności klinicznej wybranych substancji aktywnych w porównaniu z innymi alternatywnie stosowanymi lekami,
- **Analizę finansowego wpływu decyzji o refundacji** określonego leku na budżet płatnika publicznego w Polsce, niezależnie od raportu HTA.