



# ***Mozobil<sup>®</sup> (pleryksafor)***

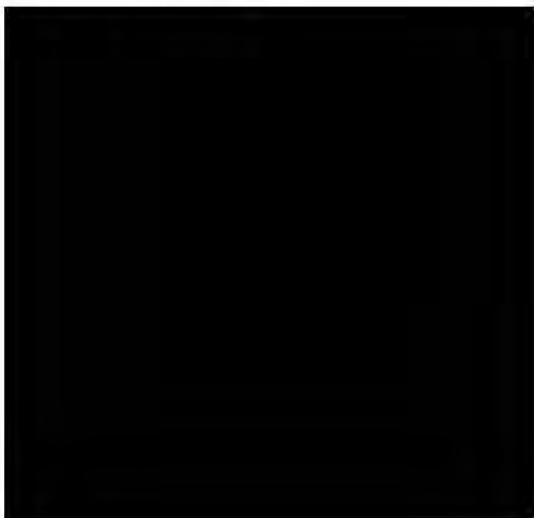
***w zwiększaniu mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych  
do krwi obwodowej celem ich autologicznego przeszczepienia  
u chorych z chłoniakiem lub szpiczakiem plazmocytowym***

***Analiza racjonalizacyjna***

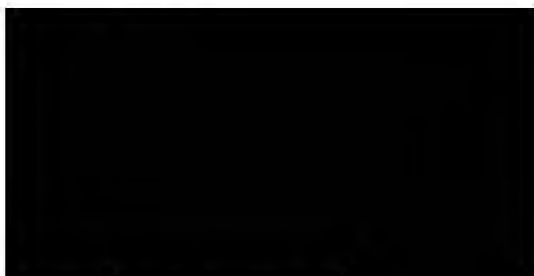
**Wersja 1.1**

**Kraków 2013**

**Wykonawca:**



**Autorzy:**



\* - autor do korespondencji:



**Konflikt interesów:**

Raport został wykonany na zlecenie i sfinansowany przez firmę *Sanofi-Aventis Sp. z o.o.*

Autorzy nie zgłosili konfliktu interesów.

Wersja 1.1 – ostatnia aktualizacja z dnia 06 grudnia 2013 r.

## Spis treści

Streszczenie .....	4
Wykaz skrótów .....	6
Zgodność z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z 2 kwietnia 2012 r. ....	7
<b>1. Analiza racjonalizacyjna .....</b>	<b>8</b>
1.1 Cel.....	9
1.2 Metodyka .....	9
1.3 Dodatkowe wydatki płatnika publicznego – zestawienie wyników BIA.....	9
1.4 Proponowane rozwiązania .....	10
[REDAKTED] .....	11
[REDAKTED] .....	15
[REDAKTED] .....	17
1.4.4 Zestawienie zbiorcze .....	19
1.5 Bilans wydatków płatnika.....	20
1.6 Wnioski końcowe .....	22
<b>2. Piśmiennictwo .....</b>	<b>24</b>
<b>3. Załącznik.....</b>	<b>26</b>
3.1 Wkład autorów w opracowanie raportu.....	27
3.2 Spis tabel .....	28
3.3 Spis wykresów .....	29

## Streszczenie

### ANALIZA RACJONALIZACYJNA

#### Cel

Celem analizy racjonalizacyjnej jest przedstawienie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których realizacja spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet finansowania w Polsce produktu leczniczego Mozobil® (pleryksafor) stosowanego w skojarzeniu z G-CSF do zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych (PBSC, z ang. *Peripheral Blood Stem Cell*) w krwi obwodowej w celu ich pobrania, a następnie autologicznego przeszczepienia (auto-HSCT, z ang. *autologous hematopoietic stem cell transplantation*) pacjentom z chłoniakiem (NHL/HL) lub szpiczakiem plazmocytowym (syn. mnogim, MM), u których mobilizacja tych komórek jest niewystarczająca.

#### Metodyka

Analiza racjonalizacyjna odnosi się do wyników analizy wpływu na budżet płatnika wykonanej dla produktu leczniczego Mozobil®. Finansowanie programu lekowego z udziałem pleryksaforu jako świadczenia gwarantowanego wiązałyby się ze wzrostem wydatków płatnika publicznego, dlatego rozważono istniejące możliwości wygospodarowania środków na ten cel bez zwiększania łącznych nakładów finansowych w systemie. Przeanalizowano obowiązujące reguły finansowania leków w poszczególnych kategoriach dostępności refundacyjnej pod kątem możliwości ich optymalizacji, skupiając się przede wszystkim na preparatach, które wymagają największych nakładów finansowych płatnika publicznego. Horyzont czasowy analizy jest zgodny z horyzontem przyjętym w analizie wpływu na system [REDACTED]

W analizie racjonalizacyjnej zaproponowano następujące rozwiązania mające na celu optymaliza-

cję wydatków płatnika publicznego w różnych obszarach terapeutycznych:

[REDACTED]

[REDACTED]

#### Wyniki

Prognozowane w analizie wpływu na budżet dodatkowe wydatki płatnika publicznego, wynikające z refundacji preparatu Mozobil® w ramach programu lekowego wynoszą [REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

Zaproponowane rozwiązania optymalizujące są wystarczające do zrównoważenia dodatkowych wydatków związanych z refundacją pleryksaforu w ramach programu lekowego. [Redacted text]

[Redacted text]

## Wnioski

Finansowanie pleryksaforu w ramach programu lekowego dla chorych z chłoniakiem (NHL/HL) lub szpiczakiem mnogim (MM) wiąże się z dodatkowymi wydatkami płatnika.

Przeprowadzona w ramach niniejszego opracowania analiza racjonalizacyjna wykazała, że proponowane rozwiązania pozwolą na uwolnienie środków publicznych w wysokości co najmniej równoważą-

cej wzrost kosztów wynikający z analizy wpływu na budżet dla produktu Mozobil®.

Proponowane w niniejszej analizie racjonalizacyjnej rozwiązania są zasadne i stosunkowo łatwe do wprowadzenia jako niewymagające istotnych zmian w przepisach prawa.

## Wykaz skrótów

<b>BIA</b>	Analiza wpływu na system ochrony zdrowia w Polsce (z ang. <i>Budget impact analysis</i> )
<b>ChPL</b>	Charakterystyka Produktu Leczniczego;
<b>MM</b>	szpiczak mnogi (z ang. <i>Multiple myeloma</i> );
<b>MZ</b>	Ministerstwo Zdrowia;
<b>nd.</b>	Nie dotyczy
<b>NHL</b>	Chłoniaki nieziarnicze (z ang. <i>Non-Hodgkin Lymphoma</i> );
<b>PBSC</b>	Komórki macierzyste w krwi obwodowej (z ang. <i>peripheral blood stem cells</i> )
<b>[REDACTED]</b>	[REDACTED]
<b>[REDACTED]</b>	[REDACTED]

## Zgodność z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z 2 kwietnia 2012 r.

Kryterium	
§ 7.1. Analiza racjonalizacyjna, o której mowa w art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte i art. 26 pkt 2 lit j ustawy, zawiera:	I
1) przedstawienie rozwiązań, o których mowa w art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte oraz w art. 26 pkt 2 lit. j ustawy wraz z oszacowaniami dowodzącymi zasadności tych rozwiązań;	
2) zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1;	
3) wyszczególnienie wszystkich założeń, na podstawie których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1;	
4) dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania, o których mowa w pkt 1, jak również przeprowadzenie kalkulacji tych oszacowań po modyfikacji dowolnej z wprowadzanych wartości oraz dowolnego z powiązań pomiędzy tymi wartościami.	
2. Jeżeli rozwiązania, o których mowa w ust. 1 pkt 1, obejmują tworzenie odrębnych grup limitowych dla refundowanych technologii, analiza racjonalizacyjna zawiera wskazanie dowodów, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy.	
3. Jeżeli rozwiązania, o których mowa w ust. 1 pkt 1, obejmują kwalifikację refundowanych technologii do wspólnej grupy limitowej, analiza racjonalizacyjna zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust 2 ustawy i wymogu, o którym mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy.	

# Analiza racjonalizacyjna

Rozdział

I



## 1.1 Cel

Celem analizy racjonalizacyjnej jest przedstawienie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet finansowania w Polsce w ramach programu lekowego produktu leczniczego Mozobil® (pleryksafor) stosowanego w skojarzeniu z G-CSF do zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych (PBSC, z ang. *Peripheral Blood Stem Cell* inaczej komórki CD34+) we krwi obwodowej w celu ich pobrania, a następnie autologicznego przeszczepienia (auto-HSCT, z ang. *autologous hematopoietic stem cell transplantation*) pacjentom z chłoniakiem (chłoniaki nieziarnicze NHL, z ang. *Non-Hodgkin Lymphoma* lub chłoniak Hodgkina HL, z ang. *Hodgkin Lymphoma*) lub szpiczakiem plazmocytozym (syn. mnogim, MM z ang. *Multiple Myeloma*), u których mobilizacja tych komórek jest niewystarczająca.

## 1.2 Metodyka

Analiza racjonalizacyjna odnosi się do wyników analizy wpływu na budżet refundacji produktu leczniczego Mozobil® w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu programów lekowych. W ramach analizy wpływu na budżet (*Aestimo 2013e*) oszacowano, że finansowanie ze środków publicznych programu lekowego dla chorych z chłoniakiem (NHL/HL) lub szpiczakiem mnogim (MM) z zastosowaniem pleryksaforu będzie prowadziło do wzrostu wydatków płatnika publicznego, dlatego – zgodnie z wymogami ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (*Ustawa 2011*) – w uzupełnieniu analizy wpływu na budżet wykonano analizę racjonalizacyjną.

W niniejszej analizie uwzględniono zapisy rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy zawarte w uzasadnieniu wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego oraz wniosku o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego objętego refundacją (*MZ 02/04/2012*).

## 1.3 Dodatkowe wydatki płatnika publicznego – zestawienie wyników BIA

W wykonanej analizie wpływu na system ochrony zdrowia oszacowano wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, związane z finansowaniem programu lekowego dla pacjentów z chłoniakiem (NHL/HL) lub szpiczakiem mnogim (MM) z zastosowaniem

produktu leczniczego Mozobil® w skojarzeniu z G-CSF do zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych we krwi obwodowej w celu ich pobrania, a następnie autologicznego przeszczepienia pacjentom, u których mobilizacja tych komórek jest niewystarczająca (scenariusz nowy), w porównaniu z sytuacją braku realizacji takiego programu (scenariusz aktualny).

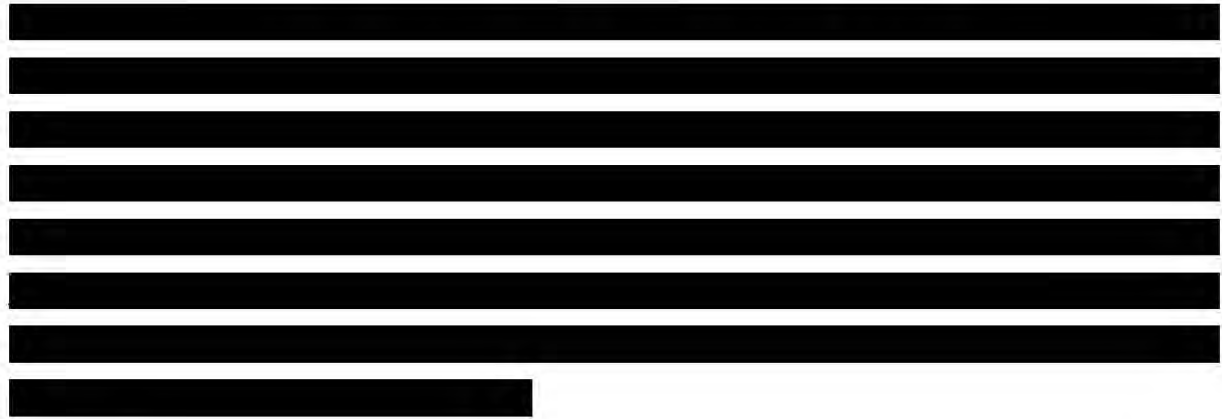
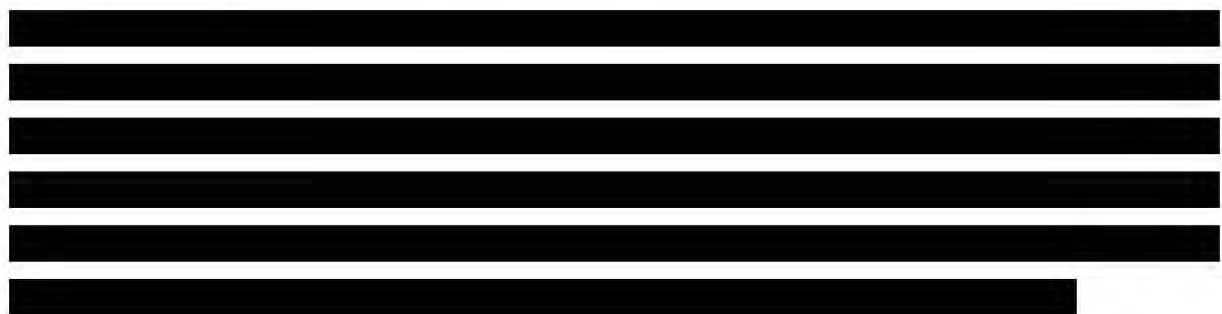


Tabela 1. [Redacted]

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



#### 1.4 Proponowane rozwiązania

W celu wygospodarowania środków na finansowanie programu lekowego z udziałem pleryksaforu w terapii chłoniaków (NHL/HL) lub szpiczaka mnogiego (MM) przedstawiono rozwiązania, których realizacja może prowadzić do optymalizacji aktualnych wydatków budżetowych, skupiając się przede wszystkim na preparatach, które wymagają największych nakładów finansowych płatnika publicznego.

[Redacted text block]

Kalkulacje wysokości uwolnionych środków, wynikających z wprowadzenia zaproponowanych rozwiązań racjonalizacyjnych, przedstawiono w kolejnych podrozdziałach.

Analizę wykonano w horyzoncie czasowym zgodnym z horyzontem analizy wpływu na budżet [Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 2. [Redacted text]

[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]

Tabela 3.



[Redacted text block]

Tabela 4.

[Redacted Table]

Tabela 3

Tabela 5. [Redacted]

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

Tabela 6.

[Redacted]	[Redacted]	[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]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]





[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 9.



Tabela 10.



#### 1.4.4 Zestawienie zbiorcze

Zestawienie proponowanych mechanizmów racjonalizacyjnych, wraz z kalkulacją łącznej prognozy uwolnionych środków, zamieszczono w poniższej tabeli.

Tabela 11. Kalkulacja zbiorcza środków uwolnionych z budżetu NFZ w wyniku realizacji proponowanych rozwiązań racjonalizacyjnych.

I				
I				
I				

### 1.5 Bilans wydatków płatnika

Zestawienie prognozowanych dodatkowych wydatków płatnika wynikających z realizacji wnioskowanego programu lekowego z udziałem pleryksaforu oraz szacowanej wielkości uwolnionych środków budżetowych wynikających z wprowadzenia proponowanych mechanizmów racjonalizacyjnych, zamieszczono w poniższej tabeli.

Tabela 12. Bilans wydatków płatnika.



Uzyskane wyniki zaprezentowano dodatkowo w formie graficznej na poniższym wykresie.

Wykres 1. Bilans wydatków płatnika publicznego



Wykres 2. Bilans wydatków płatnika publicznego



[REDACTED]

## 1.6 Wnioski końcowe

Finansowanie w ramach programu pleryksaforu (produkt leczniczy Mozobil®), stosowanego w skojarzeniu z G-CSF do zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych (PBSC, z ang. *Peripheral Blood Stem Cell*, inaczej komórki CD34+) we krwi obwodowej w celu ich pobrania, a następnie autologicznego przeszczepienia pacjentom z chłoniakiem (NHL/HL) lub szpiczakiem plazmocytowym (syn. mnogim, MM), u których mobilizacja tych komórek jest niewystarczająca wiąże się z dodatkowymi wydatkami płatnika.

Analiza wpływu na budżet wykazała dodatkowe koszty dla płatnika publicznego, związane z podjęciem refundacji produktu leczniczego Mozobil® w ramach programu lekowego wynoszące:

[REDACTED]

[REDACTED]

Proponowane w niniejszej analizie racjonalizacyjnej rozwiązania są zasadne i stosunkowo łatwe do wprowadzenia jako niewymagające istotnych zmian w przepisach prawa.

Obliczenia związane z proponowanymi rozwiązaniami racjonalizacyjnym uwzględniają najbardziej aktualne – na chwilę przeprowadzania analizy<sup>2</sup> – informacje dotyczące zużycia analizowanych leków i ich kosztów, dostępne na podstawie publikowanych materiałów Narodowego Funduszu Zdrowia i Ministerstwa Zdrowia.

**Przeprowadzona w ramach niniejszego opracowania analiza racjonalizacyjna wykazała, że proponowane rozwiązania pozwolą na uwolnienie środków publicznych w wysokości co najmniej równoważącej wzrost kosztów wynikający z analizy wpływu na budżet dla produktu Mozobil®.**

## 2. Piśmiennictwo

- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- MZ 02/04/2012** Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy zawarte w uzasadnieniu wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.
- MZ 24/04/2013** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 24 kwietnia 2013: Wykaz refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 maja 2013 r.
- MZ 26/08/2013** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 26 sierpnia 2013: Wykaz refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 września 2013 r.
- MZ 25/10/2013** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 25 października 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 listopada 2013 r.
- Komunikat DGL 26/11/2013 (a)** Komunikat DGL z dnia 26 listopada 2013. Kwoty refundacji i liczba zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych narastająco od początku roku do lipca 2013 r. Załącznik: „Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń-sierpień 2013)”
- Komunikat DGL 26/11/2013 (b)** Komunikat DGL z dnia 26 listopada 2013. Kwoty refundacji i liczba zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych narastająco od początku roku do lipca 2013 r. Załącznik: „Wartość refundacji cen leków według kodów EAN (styczeń-sierpień 2013)”
- NFZ 24/2012** Zarządzenie Nr 24/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 27 kwietnia 2012r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie terapeutyczne programy zdrowotne



Mozobil® (pleryksafor) w zwiększaniu mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych do krwi obwodowej celem ich autologicznego przeszczepienia u chorych z chłoniakiem lub szpiczakiem mnogim

**NFZ 27/2012**

Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe)

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

**Ustawa 2011**

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.

# Załączniki

Rozdział

III

### 3.1 Wkład autorów w opracowanie raportu

Autorzy	Udział w opracowaniu raportu
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

### 3.2 Spis tabel

Tabela 1.	.....	10
Tabela 2.	.....	12
Tabela 3.	.....	13
Tabela 4.	.....	13
Tabela 5.	.....	14
Tabela 6.	.....	15
Tabela 7.	.....	17
Tabela 8.	.....	17
Tabela 9.	.....	19
Tabela 10.	.....	19
Tabela 11.	Kalkulacja zbiorcza środków uwolnionych z budżetu NFZ w wyniku realizacji proponowanych rozwiązań racjonalizacyjnych. ....	20
Tabela 12.	Bilans wydatków płatnika. ....	20

### 3.3 Spis wykresów

Wykres 1. Bilans wydatków płatnika publicznego [redacted]	
[redacted] .....	21
Wykres 2. Bilans wydatków płatnika publicznego [redacted]	
[redacted] .....	21