

# **Hidrasec® (racekadotryl) w komplementarnym leczeniu objawowym ostrej biegunki u dzieci**

**Analiza wpływu na budżet**



Warszawa  
listopad 2013



**Autorzy raportu:**

[Redacted]

**Wkład pracy:**

[Redacted]

**Adres do korespondencji:**

[Redacted]

**Recenzja:**

Opracowanie nierecenzowane

**Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:**

[Redacted]

**Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:**

[Redacted]



## Spis treści

<b>Skróty i akronimy</b> .....	<b>7</b>
<b>Streszczenie</b> .....	<b>8</b>
<b>1 Tło kliniczne</b> .....	<b>11</b>
<b>2 Szacowanie 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</b> .....	<b>13</b>
<b>3 Cel analizy</b> .....	<b>14</b>
<b>4 Metodyka</b> .....	<b>15</b>
4.1 Populacja .....	16
4.1.1 Struktura wieku populacji docelowej .....	16
4.1.2 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana .....	18
4.1.3 Szacowanie liczebności populacji docelowej, wskazanej we wniosku .....	22
4.1.4 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana .....	23
4.2 Horyzont czasowy analizy .....	23
4.3 Perspektywa analizy .....	23
4.4 Analizowane koszty .....	23
4.4.1 Koszty leków .....	24
4.4.2 Uzasadnienie utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej .....	27
4.5 Definicje scenariuszy .....	28
4.6 Dyskontowanie .....	30
4.7 Analiza uwzględniająca instrumenty podziału ryzyka .....	30
<b>5 Wyniki</b> .....	<b>31</b>
5.1 Scenariusz najbardziej prawdopodobny .....	31
5.2 Scenariusz minimalny .....	33
5.3 Scenariusz maksymalny .....	35
<b>6 Aspekty społeczne i etyczne</b> .....	<b>38</b>

---

<b>7</b>	<b>Podsumowanie i wnioski</b> .....	<b>40</b>
	<b>Aneks 1. Hospitalizacje w ramach grupy JGP P22</b> .....	<b>43</b>
	<b>Aneks 2. Dawkowanie preparatu Hidrasec w zależności od wieku</b> .....	<b>44</b>
	<b>Aneks 3. Koszty leków</b> .....	<b>46</b>
	<b>Aneks 4. Minimalne wymagania wobec analiz HTA</b> .....	<b>47</b>
	<b>Aneks 5. Sprzedaż preparatów Hirdrasec do aptek wg IMS</b> .....	<b>49</b>
	<b>Spis tabel</b> .....	<b>50</b>
	<b>Spis rysunków</b> .....	<b>51</b>
	<b>Piśmiennictwo</b> .....	<b>52</b>

## **Skróty i akronimy**

AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
ChPL	Charakterystyce Produktu Leczniczego
DPN	Doustne płyny nawadniające
EMA	Europejska Agencja Leków
ESPGHAN	European Society for Paediatric Gastroenterology, Hepatology, and Nutrition
ESPID	European Society for Paediatric Infectious Diseases
JGP	Jednorodne Grupy Pacjentów
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PZH	Państwowy Zakład Higieny

## Streszczenie

### Tło kliniczne

Biegunka to zmiana normalnego wypróżniania charakteryzująca się wzrostem zawartości wody, objętości lub częstotliwości wypróżnienia. Na całym świecie każdego roku notuje się około 125-140 mln przypadków rotawirusowego zapalenia żołądka i jelit. Ostra biegunka rotawirusowa jest przyczyną około 440 tys. zgonów rocznie wśród dzieci w wieku do 5 lat. Według danych epidemiologicznych Państwowego Zakładu Higieny, w Polsce w 2011 roku w populacji ogólnej odnotowano 97 680 przypadków zakażeń jelitowych, z których 64 974 (66%) wymagało hospitalizacji. W populacji dzieci do lat 2 odnotowano 36 476 przypadków zakażeń jelitowych, z których 29 978 (82%) wymagało hospitalizacji. Wytyczne kliniczne dotyczące postępowania w przypadku ostrej biegunki u dzieci i niemowląt wskazują przede wszystkim na potrzebę nawadniania za pomocą glukozydo-elektrolitowych doustnych płynów nawadniających. Spośród leków przeciwwydzielniczych rekomendację ESPGHAN/ESPID do stosowania u dzieci w wieku do 5 lat ma tylko racekadotryl (IIB). Racekadotryl jest wskazany w komplementarnym leczeniu objawowym ostrej biegunki u niemowląt (powyżej 3. miesiąca życia) i u dzieci, z równoczesnym przyjmowaniem doustnych płynów nawadniających i standardowym postępowaniem wspomagającym, kiedy ono samo nie jest wystarczające do kontroli stanu klinicznego.

### Cel pracy

Celem pracy jest oszacowanie wpływu na budżet NFZ związanego z zastosowaniem racekadotrylu (Hidrasec®) w leczeniu komplementarnym objawowej ostrej biegunki u niemowląt w wieku powyżej 3 miesięcy i dzieci do 5 lat, z równoczesnym przyjmowaniem doustnych płynów nawadniających.

### Metody

Analizowano jedynie koszty związane z lekiem będącym przedmiotem analizy. Nie szacowano kosztów doustnej terapii nawadniającej, ponieważ Hidrasec jest terapią komplementarną do doustnych płynów nawadniających i nie zmienia dawkowania, a co za tym idzie kosztów terapii nawadniającej. Ponieważ preparat Hidrasec, ani żaden inny preparat o podobnym działaniu, który jest skierowany do populacji dzieci w wieku do 5 lat nie jest refundowany z budżetu państwa, koszty scenariusza obecnego dla perspektywy płatnika publicznego równe są 0 i nie były przedmiotem analizy.

W scenariuszu minimalnym populację szacowano na podstawie danych PZH dotyczących liczby biegunek wirusowych oraz biegunek i zapaleń żołądkowo-jelitowych o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu (rozpoznania A08 i A09). Liczebność populacji w tym scenariuszu wynosi 55 339. W scenariuszu maksymalnym założono maksymalną wielkość populacji docelowej na podstawie zużycia refundowanego preparatu nawadniającego Gastrolit. Liczebność populacji w tym scenariuszu oszacowano na 156 223. W scenariuszu najbardziej prawdopodobnym przyjęto, że docelowa wielkość populacji będzie średnią z populacji oszacowanych na potrzeby scenariuszy maksymalnego i minimalnego i będzie równa 105 781 pacjentów.



Analizę przeprowadzono dla 2-letniego horyzontu obserwacji, styczeń 2014 – grudzień 2015. Analizę przeprowadzono z punktu widzenia płatnika publicznego, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz ze względu na współpłacenie, z perspektywy pacjenta.

Zużycie leków szacowano w oparciu o dwa różne schematy dawkowania leku opisany w Charakterystyce Produktu Leczniczego:

- schemat dawkowania opartym na zindywidualizowanej dawce dostosowanej do masy ciała - 1,5 mg/kg masy ciała na każdą dawkę, 3 razy dziennie;
- schemat dawkowania oparty na podawaniu pełnych saszetek w poszczególnych przedziałach wagowych:
  - u dzieci < 13 kg – Hidrasec 10 mg:
    - niemowlęta poniżej 9 kg: jedna saszетка zawierająca 10 mg 3 razy dziennie;
    - niemowlęta 9-13 kg: dwie saszetki zawierające 10 mg 3 razy dziennie;
  - u dzieci ≥ 13 kg – Hidrasec 30 mg:
    - dzieci o masie od 13 do 27 kg: jedna saszетка zawierająca 30 mg 3 razy dziennie.

Przyjęto założenie, że terapia produktem leczniczym Hidrasec trwa 5 dni.

## **Wyniki**

[Redacted content]

## **Wnioski**

---

[REDACTED]

## 1 Tło kliniczne

Biegunka to zmiana normalnego wypróżniania charakteryzująca się wzrostem zawartości wody, objętości lub częstotliwości wypróżnienia. Na świecie biegunka jest drugą po zapaleniu płuc najczęstszą przyczyną zgonów dzieci w wieku do 5 lat.<sup>1,2</sup> Na całym świecie każdego roku notuje się około 125-140 mln przypadków rotawirusowego zapalenia żołądka i jelit.<sup>3</sup> Ostra biegunka rotawirusowa jest przyczyną około 440 tys. zgonów rocznie wśród dzieci w wieku do 5 lat.<sup>4</sup> Mimo że w krajach europejskich biegunka stosunkowo rzadko prowadzi do zgonu, to odwodnienie organizmu i zaburzenia wodno-elektrolitowe często są przyczyną hospitalizacji, szczególnie wśród dzieci poniżej 3. roku życia.<sup>2</sup>

Według danych epidemiologicznych Państwowego Zakładu Higieny, w Polsce w 2011 roku w populacji ogólnej dominowały zakażenia jelitowe o etiologii wirusowej (44 906 przypadków). Odnotowano również 8814 przypadków salmonellozy, 6538 przypadków innych zakażeń bakteryjnych jelit, a także 2196 przypadków bakteryjnych zatruc pokarmowych. Dla 35 226 przypadków biegunek i zapaleń żołądkowo-jelitowych nie udało się ustalić dokładnej etiologii. W sumie w 2011 roku odnotowano 97 680 przypadków zakażeń jelitowych, z których 64 974 (66%) wymagało hospitalizacji. Spośród 44 906 wirusowych zakażeń jelitowych, 30 769 stanowiły zakażenia wywołane przez rotawirusy. Zgodnie ze statystykami Jednorodnych Grup Pacjentów publikowanymi na stronie internetowej Narodowego Funduszu Zdrowia, w 2011 roku odnotowano 97 844 hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń żołądka i jelit u dzieci, z czego 80,65% dotyczyło dzieci w wieku do 6 lat (78 913 hospitalizacji). Biegunki, infekcyjne zapalenia żołądka i jelit (kody ICD-10: A08 i A09) stanowiły 76,45% rozpoznań. Szacunkowa liczba hospitalizacji z powodu wirusowego zakażenia jelit, wirusowego nieżytu jelit (A08), a także biegunki i zapalenia żołądkowo-jelitowego o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu (A09) u dzieci do 18. roku życia wyniosła w 2011 wyniosła 74 800 – tabela 2. Biegunka i zapalenie żołądkowo-jelitowe o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu stanowiły 32,12% wszystkich hospitalizacji, a nieżyt jelitowy wywołany przez rotawirusy – 28,34%. Trzecią w kolejności przyczyną biegunki były nieokreślone zakażenia wirusowe, które stanowiły 12,91% wszystkich hospitalizacji.<sup>5</sup> Szacunkowa liczba hospitalizacji w populacji w wieku 0-6 lat wynosiła 60 328. Przeprowadzając projekcję rozkładu wieku populacji z danych NFZ na dane epidemiologiczne PZH, liczba pacjentów w wieku do lat 6 z rozpoznaniem ICD-10 A08-A09 wyniesie 64 627 (80,65% z 80 133 wszystkich rozpoznań A08-A09), z czego 34 318 dotyczy pacjentów w wieku do 2 lat.

Wytyczne kliniczne dotyczące postępowania w przypadku ostrej biegunki u dzieci i niemowląt wskazują na potrzebę nawadniania za pomocą glukozowo-elektrolitowych doustnych płynów nawadniających. Wśród leków stosowanych w terapii biegunki będącej następstwem nieżytu żołądka i jelit u dzieci i niemowląt w wieku do 5 lat

znajdują się: adsorbenty, leki przeciwwydzielnicze, probiotyki i mikroelementy (cynk). Spośród leków przeciwwydzielniczych rekomendację ESPGHAN/ESPID do stosowania u dzieci w wieku do 5 lat ma tylko racekadotryl (IIB). Hidrasec jest wskazany w komplementarnym leczeniu objawowym ostrej biegunki u niemowląt (powyżej 3. miesiąca życia) i u dzieci, z równoczesnym przyjmowaniem doustnych płynów nawadniających i standardowym postępowaniem wspomagającym, kiedy ono samo nie jest wystarczające do kontroli stanu klinicznego.

Obecnie leczenie racekadotrylem nie jest finansowane z budżetu państwa.

## **2 Szacowanie 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**

Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ ponoszonych na leczenie populacji objętej wnioskiem jest trudne. Wnioskowana technologia w chwili obecnej nie jest refundowana ze środków publicznych. Jedyne wydatki NFZ związane z leczeniem pediatrycznych pacjentów z biegunką możliwe do oszacowania to koszty hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń żołądka i jelit (grupa JPG P22). Z raportów NFZ wynika, że w 2011 roku zarejestrowano 97 844 hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń u dzieci do lat 18. Średnia wartość hospitalizacji wyniosła 2 062,93 PLN, co daje całkowity koszt hospitalizacji pacjentów z tej grupy równy 201 845 323 PLN. Statystyki NFZ nie pozwalają na precyzyjne oszacowanie kosztów hospitalizacji w populacji w wieku od 3 miesięcy do 5 lat. Wykorzystując szacunki dotyczące liczebności tej populacji (patrz rozdział 4.1.3), można szacować, że wydatki związane z hospitalizacją w populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku wynoszą około 72,4% tej sumy tj. 146 144 777 PLN.

Jedynym preparatem nawadniającym posiadającym refundację jest preparat Gastrolit. Z danych dotyczących wartości refundacji cen leków w 2011 roku wynika, że w danym roku kwota refundacji preparatu Gastrolit wyniosła 1 741 096,45 PLN. Podobnie jak w przypadku kosztów hospitalizacji, dane nie pozwalają na precyzyjne oszacowanie kosztów hospitalizacji w populacji w wieku od 3 miesięcy do 5 lat. Wykorzystując szacunki dotyczące liczebności tej populacji (patrz rozdział 4.1.3), można szacować, że wydatki związane z refundacją doustnych płynów nawadniających w populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku wynoszą około 55,6% tej sumy tj. 968 342 PLN.

Ze względu na fakt, że koszt opieki ambulatoryjnej jest zryczałtowany, nie sposób wyodrębnić kosztów wizyt związanych z leczeniem biegunek.

Obecnie leczenie preparatem Hidrasec nie jest finansowane z budżetu państwa, stąd nie można w analizie wyszczególnić składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii.

### 3 Cel analizy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na system ochrony zdrowia (budżet Narodowego Funduszu Zdrowia) oraz wpływu na budżet płatnika – pacjenta, związanego z refundacją preparatu racekadotryl (Hidrasec®) w leczeniu komplementarnym ostrej biegunki u niemowląt w wieku powyżej 3 miesięcy i dzieci do 5 lat, z równoczesnym przyjmowaniem doustnych płynów nawadniających.

Tabela 1. Problem decyzyjny zdefiniowany w schemacie PICO.

Kryterium	Charakterystyka
Populacja (P)	<ul style="list-style-type: none"><li>Niemowlęta w wieku powyżej 3 miesięcy i dzieci do 5 lat z rozpoznaną ostrą biegunką</li></ul>
Rodzaj interwencji (I)	<ul style="list-style-type: none"><li>Hidrasec + DPN</li></ul>
Komparator (C)	<ul style="list-style-type: none"><li>DPN</li></ul>
Wyniki (O)	<ul style="list-style-type: none"><li>Bezpośrednie koszty medyczne oceniane z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz pacjenta w dwuletnim horyzoncie czasowym analizy</li></ul>

## 4 Metodyka

W niniejszym rozdziale przedstawiono zestawienie tabelaryczne wartości i wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań dotyczących:

- rocznej liczebności populacji;
- rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy;
- 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, o ile występuje;
- 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 prognozami, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, w tym minimalnych i maksymalnych wariantów dla tego oszacowania;
- ilościowej prognozy 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, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy;
- ilościowej prognozy 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, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy.

Ze względu na brak refundacji kosztów preparatu Hidrasec nie szacowano scenariusza obecnego, a zatem koszty terapii tym preparatem są również kosztami inkrementalnymi w stosunku do obecnego scenariusza. W analizie zdefiniowano nowe scenariusze – minimalny, najbardziej prawdopodobny i maksymalny.



---

## 4.1 Populacja

Liczebność populacji, w której dana technologia może być zastosowana szacowano na podstawie danych z Państwowego Zakładu Higieny, danych dotyczących liczby hospitalizacji w grupie JGP P22 i F47 oraz publikacji Huilan 1991.<sup>6,7,8</sup>

### 4.1.1 Struktura wieku populacji docelowej

Struktura wieku populacji docelowej tj. populacji niemowląt w wieku powyżej 3 miesięcy i dzieci do 5 lat jest konieczna dla oszacowania zużycia preparatu Hidrasec, który jest dawkowany w zależności od masy ciała. Szacowanie struktury wieku docelowej populacji przeprowadzono wykorzystując dane z piśmiennictwa, dane NFZ i PZH a także wykorzystując założenia, które konsultowano z ekspertami klinicznymi w trakcie spotkania „Postępy w leczeniu biegunek u dzieci – Spotkanie Ekspertów” (Warszawa, marzec 2013).

Strukturę wieku populacji do 24 miesiąca szacowano w oparciu o badanie Huilan 1991 – patrz tabela poniżej oraz szacunki liczebności populacji pacjentów w wieku 0-6 lat i ostrą biegunką opartych na danych PZH i NFZ (patrz rozdział 4.1.2). Ze względu na obserwowaną w badaniu Huilan 1991 zbliżoną liczbę biegunek w populacji 0-5 i 6-11, w analizie założono równomierne rozpowszechnienie biegunek w populacji od 3 do 12 miesiąca życia. Liczbę biegunek 2 r.ż. przyjęto na poziomie liczby biegunek w populacji 6-11. Pierwotnie przyjęto, że liczba biegunek w kolejnych latach będzie ulegała redukcji o 25% rocznie. Ponieważ oszacowana w ten sposób liczba biegunek w 3 roku życia była nieznacznie wyższa od liczby biegunek w 2 roku życia, przyjęto, że liczba biegunek u dzieci w wieku trzech lat będzie równa tej u dzieci w wieku dwóch lat. Założenie to nie jest zgodne z obserwacjami z badania Huilan 1991, w którym obserwowano znaczną redukcję liczby biegunek w populacji 3 latków, nie mniej mając na uwadze dane epidemiologiczne PZH i strukturę hospitalizacji NFZ, należy sadzić, że przyjęte założenie dość dobrze odzwierciedla strukturę zachorowań w populacji polskiej. W kolejnych

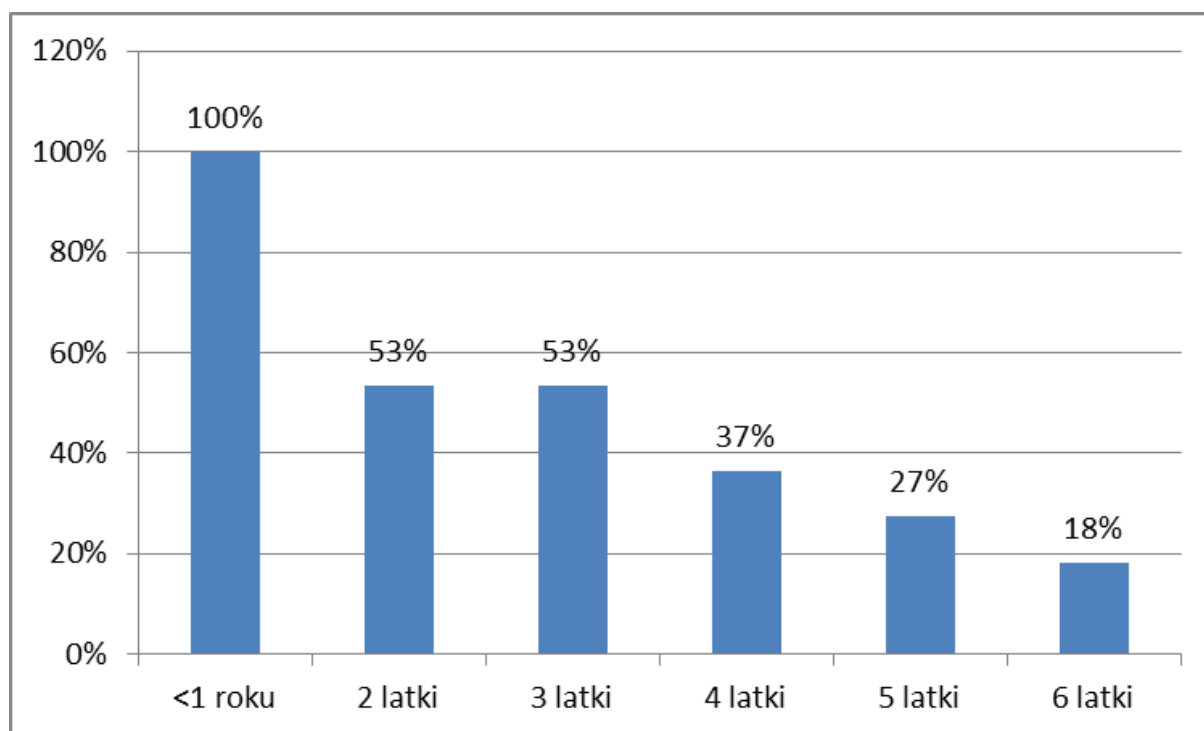


latach założono również stały spadek (o 1/3) rozpowszechnienia biegunek wśród dzieci w wieku 4 i 5 lat w porównaniu z tym wśród dzieci w wieku 3 lat. Strukturę zachorowań w populacji 0-6 lat przedstawiono na rycinie poniżej (populacja 1 roku stanowi 100%). Na kolejnej rycinie przedstawiono strukturę zachorowań w docelowej populacji dla analizy tj. dzieci w wieku powyżej 3 miesięcy do 5 lat.

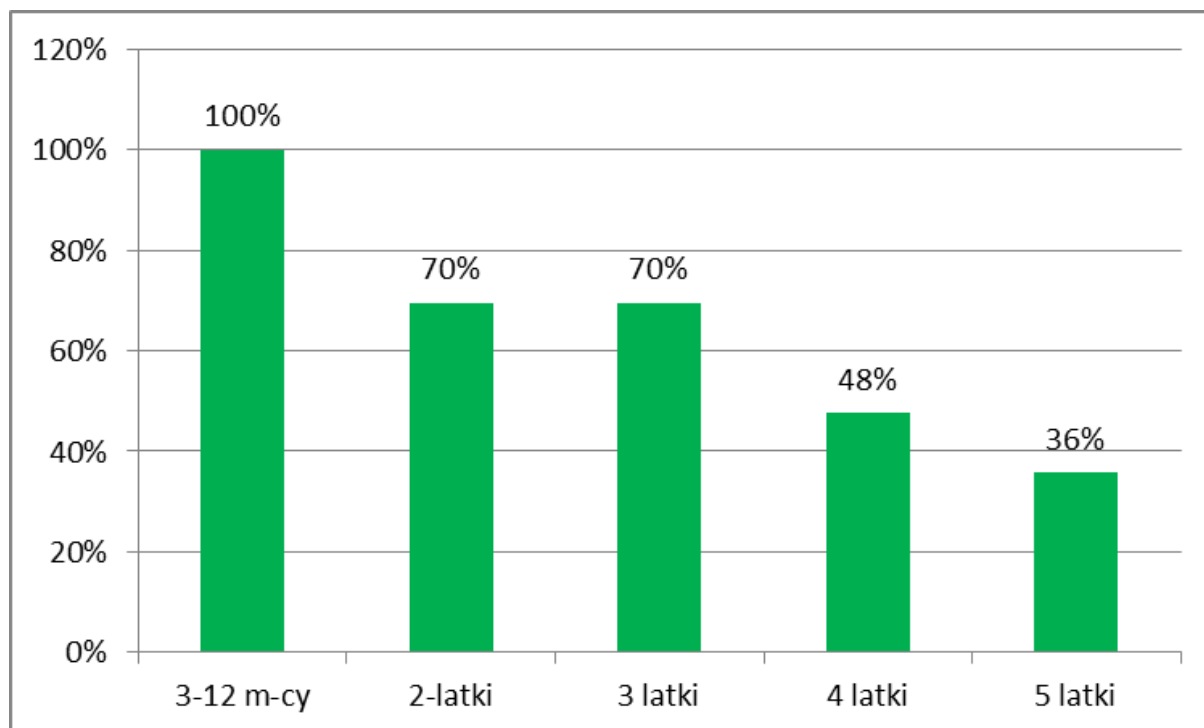
Tabela 2. Rozpowszechnienie biegunek u dzieci do 3 lat - Huilan 1991.

Miesiące życia	Występowanie
0-5	28%
6-11	32%
12-23	32%

Rysunek 1. Struktura zachorowań dla populacji 0-6 lat.



Rysunek 2. Struktura zachorowań dla populacji docelowej, wskazanej we wniosku.



#### 4.1.2 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Wnioskowana technologia zgodnie z zapisami Charakterystyki Produktu Leczniczego jest stosowana w populacji niemowląt w wieku powyżej 3 miesięcy i dzieci. Wnioskowana technologia nie jest zalecana w leczeniu biegunek związanych ze stosowaniem antybiotyków oraz w przypadku wystąpienia krwistych lub ropnych stolców z towarzyszącą gorączką może wskazywać na zakażenie bakteryjne będące przyczyną biegunki lub obecność innych ciężkich chorób. Z tego względu populację, u której dana technologia może być zastosowana stanowią niemowlęta i dzieci w wieku powyżej 3 miesiąca z ostrą biegunką o podłożu wirusowym lub o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu – rozpoznania ICD-10 A08 i A09. Szacowanie liczebności tej populacji oparto na danych NFZ dotyczących hospitalizacji z rozpoznaniem A08 lub A09 oraz danych PZH dotyczących epidemiologii rozpoznań A08-A09. Alternatywnie liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana, szacowano w oparciu o dane sprzedażowe refundowanych doustnych płynów nawadniających (preparat Gastrolit, grupa limitowa 9.0, Elektrolity do podawania doustnego). W szacunkach uwzględniono tylko dane dotyczące sprzedaży refundowanych doustnych płynów nawadniających (pominięto dane dotyczące sprzedaży poza refundacją), wychodząc z założenia, że pacjenci, którzy potencjalnie będą otrzymywać Hidrasec, będą otrzymywać ten lek tylko po wizycie u

lekarza. Dodatkowo, w szacunkach uwzględniono dane sprzedażowe z 2011 roku, ponieważ w 2012 roku rynek sprzedaży refundowanego preparatu Gastrolit uległ znacznemu zmniejszeniu, co wiąże się prawdopodobnie z wprowadzeniem na rynek innych preparatów płynów nawadniających, które w chwili obecnej nie posiadają refundacji. Mając na uwadze fakt, że w 2011 roku Gastrolit był w praktyce jedynym dostępnym doustnym płynem nawadniającym, wielkość sprzedaży refundowanych opakowań produktu Gastrolit stanowi dobre odniesienie dla szacunków populacji, która może otrzymywać produkt Hidrasec.

Według danych epidemiologicznych Państwowego Zakładu Higieny, w Polsce w 2011 roku w populacji ogólnej dominowały zakażenia jelitowe o etiologii wirusowej (44 906 przypadków). Odnotowano również 8814 przypadków salmonellozy, 6538 przypadków innych zakażeń bakteryjnych jelit, a także 2196 przypadków bakteryjnych zatruc pokarmowych. Dla 35 226 przypadków biegunek i zapaleń żołądkowo-jelitowych nie udało się ustalić dokładnej etiologii. W sumie w 2011 roku odnotowano 97 680 przypadków zakażeń jelitowych, z których 64 974 (66%) wymagało hospitalizacji. Spośród 44 906 wirusowych zakażeń jelitowych, 30 769 stanowiły zakażenia wywołane przez rotawirusy.

Podobnie jak w populacji ogólnej, w populacji dzieci do lat 2 w 2011 roku dominowały zakażenia jelitowe o etiologii wirusowej (21 250 przypadków). Odnotowano również 2159 przypadków bakteryjnych zakażeń jelitowych (bez salmonellozy) i 108 przypadków bakteryjnych zatruc pokarmowych. Dla 13 067 przypadków biegunek i zapaleń żołądkowo-jelitowych nie udało się ustalić dokładnej etiologii. W sumie w 2011 roku odnotowano 36 476 przypadków zakażeń jelitowych, z których 29 978 (82%) wymagało hospitalizacji.<sup>5</sup>

Tabela 3. Zachorowania na różne postaci zakażenia żołądkowo-jelitowego w Polsce – dane Państwowego Zakładu Higieny.

Rok	Liczba przypadków	Zapadalność (na 100 000 osób)	Liczba hospitalizacji	Odsetek hospitalizacji (%)
<b>Wirusowe zakażenia jelitowe ogółem (A08)</b>				
2010 <sup>1</sup>	32 723	85,7	27 039	82,6
2011 <sup>2</sup>	44 906	117,6	37 118	82,7
<b>Wirusowe zakażenia jelitowe u dzieci do lat 2 (A08)</b>				
2010	15 853	1901,7	15 077	95,1
2011	21 250	2549,1	20 052	94,4
<b>Zakażenia rotawirusami (A08.0)</b>				
2010	20 902	54,7	20 170	96,5
2011	30 769	80,6	29 616	96,3
<b>Zakażenia norowirusami (A08.1)</b>				
2010	2121	5,55	508	24,0
2011	1402	3,67	351	25,0
<b>Biegunka i zapalenie żołądkowo-jelitowe, BNO (A09)</b>				
2010	26 303	68,9	13 404	51,0
2011	35 226	92,2	15 088	42,8
<b>Biegunka i zapalenie żołądkowo-jelitowe, BNO u dzieci do lat 2 (A09)</b>				
2010	11 581	1389,2	7 952	68,7
2011	13 067	1567,5	8 165	62,5

Zgodnie ze statystykami Jednorodnych Grup Pacjentów publikowanymi na stronie internetowej Narodowego Funduszu Zdrowia, w 2011 roku odnotowano 97 844 hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń żołądka i jelit u dzieci. Biegunki, infekcyjne zapalenia żołądka i jelit (kody ICD-10: A08 i A09) stanowiły 76,45% rozpoznań. Szacunkowa liczba hospitalizacji z powodu wirusowego zakażenia jelit, wirusowego nieżytu jelit (A08), a także biegunki i zapalenia żołądkowo-jelitowego o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu (A09) u dzieci do 18. roku życia w 2011 wyniosła 74 802 – tabela 2. Biegunka i zapalenie żołądkowo-jelitowe o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu stanowiły 32,12% wszystkich hospitalizacji, a nieżyt jelitowy wywołany przez rotawirusy – 28,34%. Trzecią w kolejności przyczyną biegunki były nieokreślone zakażenia wirusowe, które stanowiły 12,91% wszystkich hospitalizacji.<sup>5</sup> Dla porównania, szacunkowa liczba hospitalizacji z powodu biegunek wirusowych w populacji dorosłych wynosi 4548 (JGP F47). W sumie wg danych NFZ w 2011 roku

<sup>1</sup> Czarkowski MP, Cielebąk E, Kondej B, Staszewska E. Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczenia Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi. Choroby zakaźne i zatrucia w Polsce w 2010 roku. Warszawa 2011.

<sup>2</sup> Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczenia Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi. Choroby zakaźne i zatrucia w Polsce w 2011 roku. Podstawowe tablice robocze – wstępne dane stan w dniu 29.02.2012 r. Warszawa 2012.

odnotowano około 79 350 hospitalizacji z powodu rozpoznania ICD-10 A08 i A09. Hospitalizacje pacjentów w wieku do lat 18 stanowiły 94,3% wszystkich hospitalizacji.

Przeprowadzając projekcję rozkładu wieku populacji z danych NFZ na dane epidemiologiczne PZH, liczba pacjentów w wieku do lat 18 z rozpoznaniem ICD-10 A08-A09 wyniesie 76 431, z czego 34 318 rozpoznań dotyczy pacjentów w wieku do 2 lat. Wykorzystując dane z badania Huilan 1991 (patrz rozdział 4.1.1.), można szacować, że populacja w wieku do 3 miesiąca życia stanowi 5 222, zatem szacowana liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana wyniesie 71 209 co stanowi 71,6% wszystkich biegunek A01-A09 raportowanych przez PZH.

Liczba sprzedanych opakowań preparatu Gastrolit w 2011 roku wynosiła 280 892. Zakładając, że zużycie opakowanie Gastrolitu odpowiada w 5 dniowej kuracji (przy założeniu zużycia 3 saszetek na dobę), można w przybliżeniu szacować, że wielkość sprzedaży opakowań produktu Gastrolit odpowiada liczbie biegunek w ogólnej populacji, które wymagały interwencji lekarskiej w warunkach ambulatoryjnych i aplikacji doustnych płynów nawadniających. Zakładając, z godnie z wcześniejszymi obliczeniami, że 71,6% wszystkich biegunek stanowią biegunki z rozpoznaniem A08 i A09 w populacji niemowląt i dzieci powyżej 3 miesiąca życia, szacowana liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana wyniesie 201 022.

Tabela 4. Liczba hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń żołądka i jelit w populacji dzieci – dane NFZ (JGP P22).

Infekcyjne i nieinfekcyjne zapalenie żołądka i jelit		Liczba hospitalizacji	Udział, %
Razem		97 844	100%
W tym:			
A09	Biegunka i zapalenie żołądkowo-jelitowe o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu	31 427	32,12%
A08.0	Nieżyt jelitowy wywołany przez rotawirusy	27 729	28,34%
A08.4	Zakażenia wirusowe jelit, nieokreślone	12 631	12,91%
A08.2	Nieżyt jelitowy wywołany przez adenowirusy	1 966	2,01%
A08.3	Nieżyt jelitowy wywołany przez inne wirusy	1 047	1,07%
Łącznie:		74 802	76,45%

Tabela 5. Liczba hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń żołądka i jelit w populacji dorosłych – dane NFZ (JGP F47).

Infekcyjne i nieinfekcyjne zapalenie żołądka i jelit		Liczba hospitalizacji	Udział, %
Razem		12865	100%
W tym:			
A08.4	Zakażenia wirusowe jelit, nie określone	2739	21,29%
A08.0	Nieżyt jelitowy wywołany przez rotawirusy	1303	10,13%
A08.5	Inne określone zakażenia jelit	350	2,72%
A08.3	Nieżyt jelitowy wywołany przez inne wirusy	156	1,21%
Łącznie:		4548	35,35%

#### 4.1.3 Szacowanie liczebności populacji docelowej, wskazanej we wniosku

Populacją wskazaną we wniosku są niemowlęta w wieku powyżej 3 miesięcy i dzieci do lat 5. Liczebność tej populacji szacowano analogicznie jak liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana. Wykorzystano statystyki JGP dotyczących hospitalizacji, dane epidemiologiczne PZH oraz dane z publikacji Huilan 1991. Podobnie jak dla szacunków liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana wykorzystano dwa alternatywne podejście – pierwsze oparte na danych epidemiologicznych oraz drugie oparte na danych sprzedażowych produktu Gastrolit.

Przeprowadzając projekcję rozkładu wieku populacji z danych NFZ na dane epidemiologiczne PZH oraz wykorzystując założenia struktury wiekowej w tej populacji (rozdział 4.1.1.), liczba pacjentów w wieku do lat 5 z rozpoznaniem ICD-10 A08-A09 wyniesie 60 562, z czego 34 318 rozpoznań dotyczy pacjentów w wieku do 2 lat. Wykorzystując dane z badania Huilan 1991 (patrz rozdział 4.1.1.), można szacować, że populacja w wieku do 3 miesiąca życia stanowi 5 222, zatem szacowana liczebność populacji o populacji docelowej, wskazanej we wniosku wyniesie 55 339 co stanowi 55,6% wszystkich biegunek A01-A09 raportowanych przez PZH.

Liczba sprzedanych opakowań preparatu Gastrolit w 2011 roku wynosiła 280 892. Zakładając, że zużycie opakowanie Gastrolitu odpowiada w 5 dniowej kuracji (przy założeniu zużycia 3 saszetek na dobę), można w przybliżeniu szacować, że wielkość sprzedaży opakowań produktu Gastrolit odpowiada liczbie biegunek w ogólnej populacji, które wymagały interwencji lekarskiej w warunkach ambulatoryjnych i aplikacji doustnych płynów nawadniających. Zakładając, zgodnie z wcześniejszymi obliczeniami, że 55,6% wszystkich biegunek stanowią biegunki z rozpoznaniem A08 i

A09 w populacji dzieci od 3 miesięcy do 5 lat, szacowana liczebność populacji o populacji docelowej, wskazanej we wniosku wyniesie 156 223.

#### **4.1.4 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana**

Mimo że technologia została zarejestrowana 18.11.2011 to obecna na rynku (w hurtowniach) od marca 2013. Według danych IMS (aneks 5) sprzedaż do aptek w okresie kwiecień-grudzień 2013 wynosiła od 2 992 do 6 086 opakowań, w tym od 1 714 do 3 331 opakowań 10 mg i od 1 259 do 2 755 opakowań 30 mg. Przy założeniu, że 1 opakowanie odpowiada 1 osobie leczonej, szacowana liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana wynosi od 2 992 do 6 086 miesięcznie, co przekłada się na ogólną liczbę leczonych w 2013 roku równą 37 227 osób. Przy założeniu, że zużycie leku odpowiada temu szacowanemu w analizie wpływu na budżet (patrz aneks 2), szacowana liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana wynosi od 2 146 do 4 443 miesięcznie, co przekłada się na ogólną liczbę leczonych w 2013 roku równą 26 818 osób.

## **4.2 Horyzont czasowy analizy**

Analizę przeprowadzono dla 2-letniego horyzontu obserwacji. Podyktowany jest on 2-letnim okresem obowiązywania pierwszej decyzji refundacyjnej. Szczegółowy okres objęty analizą to styczeń 2014 – grudzień 2015 (24 miesiące). W analizie przyjęto założenie, że po wprowadzenie refundacji produktu Hidrasec następuje natychmiastowe zajęcie całości niszy rynku tj. nie różnicowano pierwszego i drugiego roku analizy w zakresie liczby pacjentów otrzymujących leczenie. Przyjęcie takiego założenia ma charakter konserwatywny, tj. pokazuje maksymalne koszty refundacji w kolejnych latach leczenia.

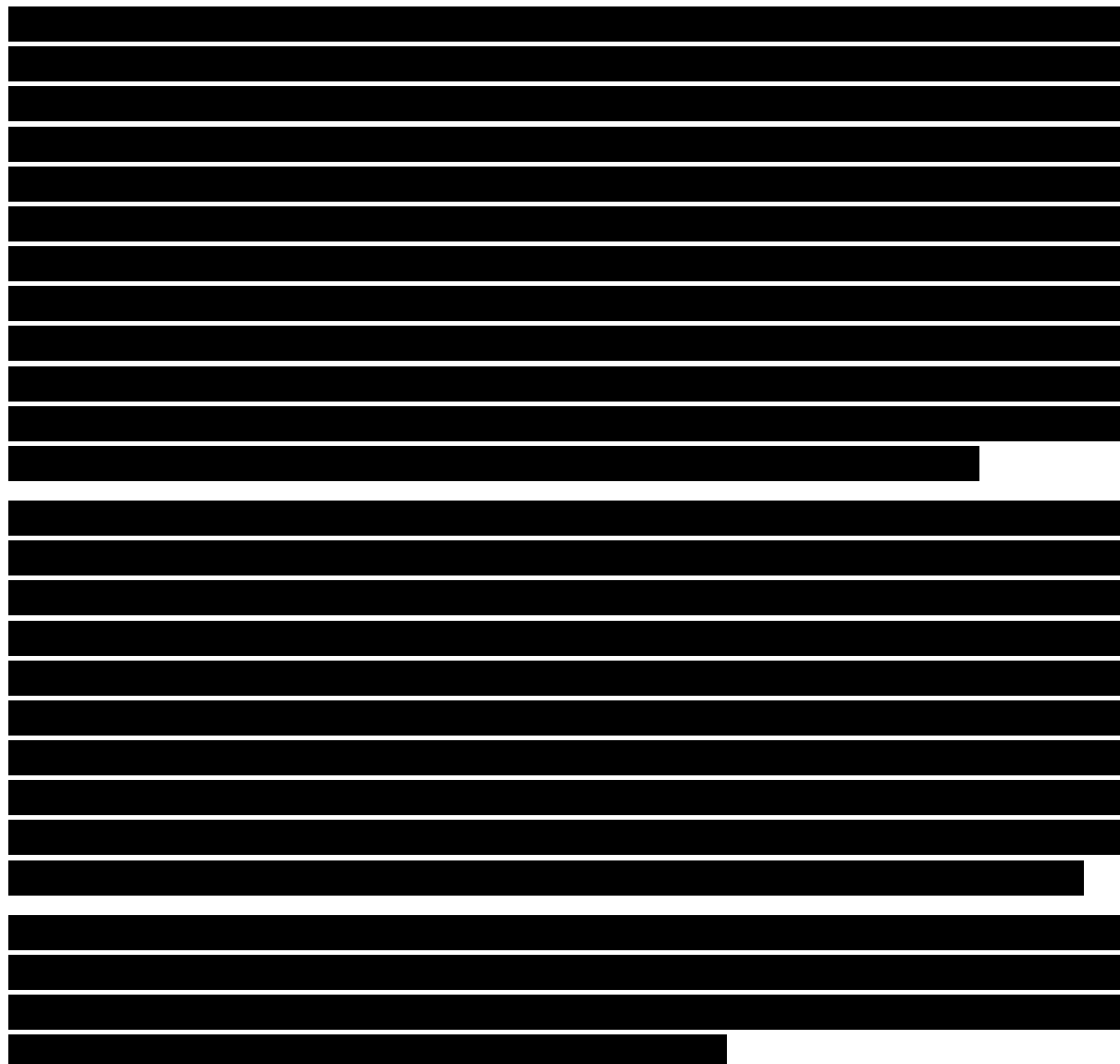
## **4.3 Perspektywa analizy**

Analizę przeprowadzono z punktu widzenia płatnika publicznego, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) i ze względu na współpłacenie, z perspektywy pacjenta.

## **4.4 Analizowane koszty**

W analizie uwzględniono jedynie koszty leków.

#### 4.4.1 Koszty leków



Zużycie leków szacowano w oparciu o dwa różne schematy dawkowania leku opisane w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL) Hidrasec:

- schemat dawkowania opartym na zindywidualizowanej dawce dostosowanej do masy ciała - 1,5 mg/kg masy ciała na każdą dawkę, 3 razy dziennie:
  - dawka zalecana: 1,5 mg/kg masy ciała na każdą dawkę, 3 razy dziennie, w równych odstępach czasu;
- schemat dawkowania oparty na podawaniu pełnych saszetek w poszczególnych przedziałach wagowych:
  - u dzieci < 13 kg – Hidrasec 10 mg:
    - niemowlęta poniżej 9 kg: jedna saszetka zawierająca 10 mg 3 razy dziennie;



- niemowlęta 9-13 kg: dwie saszetki zawierające 10 mg 3 razy dziennie;
- u dzieci  $\geq 13$  kg – Hidrasec 30 mg:
  - dzieci o masie od 13 do 27 kg: jedna saszetka zawierająca 30 mg 3 razy dziennie.

Według charakterystyki produktu leczniczego Hidrasec leczenie należy kontynuować do czasu oddania dwóch normalnych stolców, lecz nie dłużej niż 7 dni. Długość czasu leczenia u dzieci w trakcie badań klinicznych wynosiła 5 dni i na potrzeby analizy przyjęto taki czas trwania terapii.

Analizie poddano jedynie koszty związane z lekiem będącym przedmiotem analizy. Nie szacowano kosztów doustnej terapii nawadniającej, ponieważ podanie produktu leczniczego Hidrasec nie zmienia dawkowania, a co za tym idzie kosztów terapii nawadniającej.

Szczegółowe szacowanie ceny preparatu Hidrasec przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 6. Oszacowanie ceny produktu leczniczego Hidrasec (racekadotryl).

Dawka leku	Liczba saetek w opakowaniu	Cena zbytu netto	Cena powiększona o VAT	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit detaliczny	Poziom odpłatności	Refundacja NFZ	Odpłatność za saetekę - perspektywa wspólna	Odpłatność za saetekę - perspektywa NFZ
█	█	█	█	█	█	█	█	█	█	█
█	█	█	█	█	█	█	█	█	█	█

#### 4.4.2 Uzasadnienie utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

## 4.5 Definicje scenariuszy

Preparat Hidrasec nie jest aktualnie refundowany z budżetu państwa i jego koszty dla budżetu NFZ są zerowe. W danym wskazaniu nie jest również refundowana żadna alternatywna technologia, która zostanie zastąpiona przez Hidrasec. Z tego względu dla perspektywy płatnika publicznego nie szacowano scenariusza obecnego. W związku z powyższym nie przedstawiono w analizie ilościowej prognozy 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, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy (jest to wartość tożsama z szacunkami scenariusza obecnego tj. brak wydatków po stronie płatnika publicznego).

Dla perspektywy płatnika-pacjenta, koszty scenariusza obecnego opowiadają sytuacji, w której Hidrasec jest sprzedawany ze 100% odpłatnością pacjenta. Z względu na fakt, że definicje scenariuszy nowych opierają się na liczebności populacji (patrz niżej), dla każdego z nowych scenariuszy zdefiniowano odpowiadający mu scenariusz obecny, w którym całość kosztów leczenia produktem leczniczym Hidrasec ponosi pacjent.

Zgodnie z minimalnymi wymaganiami wobec analiz farmakoekonomicznych Ministerstwa Zdrowia (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) oraz wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych, w ramach analizy przedstawiono 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, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy. Tak zdefiniowana analiza objęła scenariusze nowe, tj. najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny. Ponieważ nie definiowano scenariusza obecnego, koszty terapii preparatem Hidrasec w

zdefiniowanych nowych scenariuszach są również kosztami inkrementalnymi w stosunku do obecnego scenariusza tj. stanowią 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 prognozami, o których mowa w § 6. 1. pkt 4 i 5 rozporządzenia, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii. W każdym z nowo zdefiniowanych scenariuszy przyjęto inną wielkość populacji leczonej preparatem Hidrasec.

W scenariuszu minimalnym populację szacowano na podstawie danych PZH dotyczących liczby biegunek wirusowych oraz biegunek i zapaleń żołądkowo-jelitowych o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu (A08-A09). W scenariuszu minimalnym szacowana wielkość populacji wynosi 55 339 (patrz rozdział 4.1.3.).

W scenariuszu maksymalnym założono maksymalną wielkość populacji docelowej na podstawie zużycia refundowanego preparatu nawadniającego Gastrolit. Liczebność populacji szacowano w oparciu o dane NFZ z 2011 roku, ponieważ analiza danych z 2011 i 2012 roku pokazała istotny spadek sprzedaży refundowanego Gastrolitu, co jest prawdopodobnie wynikiem wprowadzenia na rynek innych podobnych produktów, które w 2012 roku nie miały statusu refundowanych, ale zmniejszyły wielkość sprzedaży produktu Gastrolit. Przyjęto średnie zużycie preparatu Gastrolit: 1 saszetka po każdym biegunkowym stolcu. Zgodnie z definicją biegunki przyjęto liczbę biegunkowych stolców równą 3 i założono średni czas trwania choroby równy 5 dni. Na tej podstawie oszacowano, że podczas jednego epizodu choroby średnie zużycie preparatu Gastrolit wynosi 1 opakowanie. Liczba sprzedanych opakowań produktu Gastrolit w 2011 roku wynosiła 280 892. Z wartości oszacowanych na potrzeby scenariusza minimalnego wynika, że odsetek biegunek z grupy A08 i A09 u dzieci do 5 lat w populacji ogólnej wynosi ponad 55,62%. Zatem oszacowana wielkość populacji w scenariuszu maksymalnym równą 156 223 (55,62% z 280 892) – patrz rozdział 4.1.3.

W scenariuszu najbardziej prawdopodobnym przyjęto, że docelowa wielkość populacji będzie średnią z populacji oszacowanych na potrzeby scenariuszy maksymalnego i minimalnego i będzie równa 105 781 pacjentów.

Należy podkreślić, że o ile zdefiniowanie scenariusza maksymalnego jest stosunkowo precyzyjne, ponieważ opiera się na danych sprzedażowych doustnych płynów nawadniających i zakłada, że Hidrasec będzie stosowany przez wszystkich pacjentów, którzy mają wskazania do stosowania tego leku, o tyle definicje pozostałych scenariuszy mogą być przeszacowane, ponieważ nie biorą pod uwagę faktu, że Hidrasec nie będzie prawdopodobnie stosowany u 100% pacjentów otrzymujących nawodnienie doustne.

Tabela 7. Szacowana wielkość populacji w analizowanych scenariuszach.

Scenariusz	Wielkość populacji
Minimalny	55 339
Najbardziej prawdopodobny	105 781
Maksymalny	156 223

#### **4.6 Dyskontowanie**

Zgodnie z wytycznymi AOTM, nie dyskontowano ani efektów, ani kosztów.

#### **4.7 Analiza uwzględniająca instrumenty podziału ryzyka**

W analizie nie uwzględniono instrumentów podziału ryzyka.

## 5 Wyniki

### 5.1 Scenariusz najbardziej prawdopodobny

[Redacted content]

Tabela 8. Wyniki – scenariusz najbardziej prawdopodobny.

		2014	2015
[Redacted]			
Refundacja NFZ	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
Opłatność pacjenta	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
Zużycie opakowań	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]			
Refundacja NFZ	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
Opłatność pacjenta	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
Zużycie opakowań	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]





Tabela 9. Wyniki – scenariusz obecny wariant najbardziej prawdopodobny, perspektywa płatnika-pacjenta.

		2014	2015
<b>[REDACTED]</b>			
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>[REDACTED]</b>			
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>[REDACTED]</b>			
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

## 5.2 Scenariusz minimalny

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[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 10. Wyniki – scenariusz minimalny.

		2014	2015
<b>[REDACTED]</b>			
<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
<b>[REDACTED]</b>			
<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>

Tabela 11. Wyniki – scenariusz obecny wariant minimalny, perspektywa płatnika-pacjenta.

		2014	2015
<b>[REDACTED]</b>			
Odpłatność pacjenta	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
Odpłatność pacjenta	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
<b>[REDACTED]</b>			
Odpłatność pacjenta	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
Odpłatność pacjenta	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>
	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>	<b>[REDACTED]</b>

### 5.3 Scenariusz maksymalny

[Redacted content]

Tabela 12. Wyniki – scenariusz maksymalny.

		2014	2015
<b>[Redacted]</b>			
<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
<b>[Redacted]</b>			
<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>
	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>	<b>[Redacted]</b>



Tabela 13. Wyniki – scenariusz obecny wariant maksymalny, perspektywa płatnika-pacjenta.

		2014	2015
[REDACTED]			
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Odpłatność pacjenta	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

## 6 Aspekty społeczne i etyczne

### **CZY POZYTYWNE ROZPATRZENIE WNIOSKU WPŁYNIĘ NA OSOBY INNE NIŻ STOSUJĄCE TĘ TECHNOLOGIĘ (WPŁYWY ZEWNĘTRZNE)?**

Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie?

*Ograniczony zostaje dostęp do leku dla populacji >5 lat, nie mniej jednak należy podkreślić, że ta populacja ma dostęp do refundowanego leku o podobnym mechanizmie działania, tj. loperamidu.*

Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach?

*Tak.*

Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna?

*Spodziewane jest uzyskanie istotnej korzyści związanej ze skróceniem czasu trwania biegunek i zmniejszeniem ryzyka hospitalizacji w dość licznej grupie chorych.*

Czy technologia jest odpowiedzią na niezaspokojone dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych?

*Tak, ponieważ obecnie nie istnieje lek refundowany o podobnym mechanizmie działania refundowany w tym wskazaniu i w tej populacji. Loperamid, jedyny dostępny lek o podobnym mechanizmie działania, który jest refundowany, jest przeciwwskazany w populacji dzieci poniżej 6. r.ż.*

Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia?

*Nie, ponieważ podstawowym postępowaniem w biegunce jest podawanie doustnych płynów nawadniających. Leczenie farmakologiczne, w tym racekadotryl jest leczeniem komplementarnym.*

### **CZY POZYTYWNA DECYZJA MOŻE POWODOWAĆ PROBLEMY SPOŁECZNE?**

Czy może wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej?

*Możliwy pozytywny wpływ ze względu na dostęp do szerszego asortymentu leków skracających czas trwania biegunki.*

Czy może grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych?

*Nie dotyczy.*

Czy może powodować lub zmieniać stygmatyzację?

*Mało prawdopodobne.*

Czy może wywoływać lęk?

*Mało prawdopodobne.*

Czy może powodować dylematy moralne?

*Mało prawdopodobne.*

Czy może stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne?

*Mało prawdopodobne.*

### **CZY DECYZJA DOTYCZĄCA TECHNOLOGII NIE KOLIDUJE Z PRAWEM?**

Czy nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi?

*Nie zidentyfikowano sprzeczności z regulacjami prawnymi.*

Czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach?

*Nie zidentyfikowano regulacji prawnych wymagających zmian.*

Czy oddziałuje na prawa człowieka lub pacjenta?

*Technologia nie oddziałuje negatywnie na prawa człowieka i pacjenta.*

### **CZY STOSOWANIE TECHNOLOGII NAKŁADA SZCZEGÓLNE WYMOGI?**

Czy jest konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody?

*Tak, podobnie jak w przypadku wszystkich innych technologii medycznych.*

Czy istnieje potrzeba zapewnienia pacjentowi poufności postępowania?

*Tak, podobnie jak w przypadku wszystkich innych technologii medycznych.*

Czy istnieje potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania?

*Tak, podobnie jak w przypadku wszystkich innych technologii medycznych.*

## 7 Podsumowanie i wnioski

Celem analizy było oszacowanie wpływu na system ochrony zdrowia (budżet Narodowego Funduszu Zdrowia) oraz wpływu na budżet płatnika – pacjenta, związanego z refundacją preparatu racekadotryl (Hidrasec®) w leczeniu komplementarnym objawowej ostrej biegunki u niemowląt w wieku powyżej 3 miesięcy i dzieci do 5 lat, z równoczesnym przyjmowaniem doustnych płynów nawadniających.

Analizowana technologia zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego może być stosowana u niemowląt powyżej 3. miesiąca życia i dzieci do 18 lat w objawowym leczeniu ostrej biegunki i nie jest zalecana w leczeniu biegunek związanych z leczeniem ze stosowaniem antybiotyków. Z tego względu populację, u której dana technologia może być zastosowana stanowią niemowlęta powyżej 3 miesiąca i dzieci do lat 18 z biegunką o podłożu wirusowym lub o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu (rozpoznanie ICD-10 A08 i A09).

Analizie poddano jedynie koszty związane z lekiem będącym przedmiotem analizy. Nie szacowano kosztów doustnej terapii nawadniającej, ponieważ podanie preparatu Hidrasec nie zmienia dawkowania, a co za tym idzie kosztów terapii nawadniającej. Ponieważ preparat Hidrasec aktualnie nie jest refundowany z budżetu państwa i jego koszty są zerowe, nie szacowano scenariusza obecnego.

W scenariuszu minimalnym populację szacowano na podstawie danych PZH dotyczących liczby biegunek wirusowych oraz biegunek i zapaleń żołądkowo-jelitowych o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu. Szacowana liczebność populacji w tym scenariuszu wynosi 55 339. W scenariuszu maksymalnym założono maksymalną wielkość populacji docelowej na podstawie zużycia refundowanego preparatu nawadniającego Gastrolit. Liczebność populacji w tym scenariuszu oszacowano na 156 223. W scenariuszu najbardziej prawdopodobnym przyjęto, że docelowa wielkość populacji będzie średnią z populacji oszacowanych na potrzeby scenariuszy maksymalnego i minimalnego i będzie równa 105 781 pacjentów.

Analizę przeprowadzono dla 2-letniego horyzontu obserwacji, styczeń 2014 – grudzień 2015. Analizę przeprowadzono z punktu widzenia płatnika publicznego, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz ze względu na współpłacenie, z perspektywy pacjenta.

Zużycie leków szacowano w oparciu o dwa różne schematy dawkowania leku opisane w charakterystyce produktu leczniczego Hidrasec:

- schemat dawkowania opartym na zindywidualizowanej dawce dostosowanej do masy ciała - 1,5 mg/kg masy ciała na każdą dawkę, 3 razy dziennie;
- schemat dawkowania oparty na podawaniu pełnych saszetek w poszczególnych przedziałach wagowych:
  - u dzieci < 13 kg – Hidrasec 10 mg;



- niemowlęta poniżej 9 kg: jedna saszетка zawierająca 10 mg 3 razy dziennie;
- niemowlęta 9-13 kg: dwie saszетки zawierające 10 mg 3 razy dziennie;
- u dzieci  $\geq 13$  kg – Hidrasec 30 mg:
  - dzieci o masie od 13 do 27 kg: jedna saszетка zawierająca 30 mg 3 razy dziennie.

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

---

[REDACTED]

## Aneks 1. Hospitalizacje w ramach grupy JGP P22

Tabela 14. Udział hospitalizacji w ramach grupy JGP P22.

ICD-10	Nazwa	Udział (%)	Liczba hospitalizacji	Mediana czasu pobytu (dni)
A09	A09 Biegunka i zapalenie żołądkowo-jelitowe o prawdopodobnie zakaźnym pochodzeniu	32,12%	31 427	3
A08.0	Nieżyt jelitowy wywołany przez rotawirusy	28,34%	27 729	4
K52.9	Niezakaźne zapalenie żołądkowo-jelitowe i jelita grubego, nieokreślone	13,64%	13 346	3
A08.4	Zakażenia wirusowe jelit, nieokreślone	12,91%	12 632	3
A02.0	Zatrucia pokarmowe wywołane przez pałeczki Salmonella	2,32%	2 270	5
A08.2	Nieżyt jelitowy wywołany przez adenowirusy	2,01%	1 967	3
A04.9	Zakażenie bakteryjne jelit, nieokreślone	1,32%	1 292	4
A08.3	Nieżyt jelitowy wywołany przez inne wirusy	1,07%	1 047	2
Razem		93,73%		

Tabela 15. Struktura wiekowa hospitalizacji JGP P22.

Wiek pacjenta (r.ż.)	Lb. hospitalizacji	Udział (%)	Mediana czasu pobytu (dni)
Poniżej 1	19680	20,11%	4
1-6	59233	60,54%	3
7-18	18931	19,35%	3
Razem	97844	100,00%	3

Tabela 16. Dane ogólne dla JGP P22.

Dane ogólne	
Kod produktu jednostkowego	5.51.01.0014022
Liczba wystąpień	97844
Udział wystąpień (%)	1.0000
Długość hospitalizacji – mediana (dni)	3
Długość hospitalizacji – dominanta (dni)	2
Średnia wartość hospitalizacji (PLN)	2 062,93 PLN

## Aneks 2. Dawkowanie preparatu Hidrasec w zależności od wieku

Tabela 17. Dawkowanie w oparciu o saszetki.

M-ce	Przedział wagowy		Zużycie Hirasec				Zużycie roczne saszetek				Zużycie rzeczywiste roczne opakowań	
	Płeć żeńska	Płeć męska	10 mg		30 mg		10 mg		30 mg		10 mg razem	30 mg razem
			Płeć żeńska	Płeć męska	Płeć żeńska	Płeć męska	Płeć żeńska	Płeć męska	Płeć żeńska	Płeć męska		
4	9	9	1	1	0	0	15	15	0	0	1	0
5	9	9	1	1	0	0	15	15	0	0	1	0
6	9	9	1	1	0	0	15	15	0	0	1	0
7	9	9	1	1	0	0	15	15	0	0	1	0
8	9	9	1	1	0	0	15	15	0	0	1	0
9	9	9-13 kg	1	2	0	0	15	30	0	0	1,6	0
10	9	9-13 kg	1	2	0	0	15	30	0	0	1,6	0
11	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
12	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
13	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
14	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
15	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
16	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
17	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
18	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
19	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
20	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
21	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
22	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
23	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
24	9-13 kg	9-13 kg	2	2	0	0	30	30	0	0	2	0
25	9-13 kg	13-27 kg	2	0	0	1	30	0	0	15	0,8	0,6
26	9-13 kg	13-27 kg	2	0	0	1	30	0	0	15	0,8	0,6
27	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
28	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
29	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
30	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
31	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
32	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
33	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
34	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
35	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
36	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
37-48	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1
49-60	13-27 kg	13-27 kg	0	0	1	1	0	0	15	15	0	1

Tabela 18. Dawkowanie wg mg/kg masy ciała.

Wiek (miesiące)	Masa ciała		Zużycie Hirasec (mg)		Zużycie Hirasec - saszetki				Rzeczywiste zużycie - saszetki				Zużycie rzeczywiste roczne opakowań	
	Płeć żeńska	Płeć męska	Płeć żeńska	Płeć męska	10 mg		30 mg		10 mg		30 mg		10 mg razem	30 mg razem
					Płeć żeńska	Płeć męska	Płeć żeńska	Płeć męska	Płeć żeńska	Płeć męska	Płeć żeńska	Płeć męska		
4 miesiące	6,5	7,25	10	11	1,0	1,1	0,3	0,4	1	2	1	1	1,6	1
5 miesięcy	7	7,75	11	12	1,1	1,2	0,4	0,4	2	2	1	1	2	1
6 miesięcy	7,5	8,25	11	12	1,1	1,2	0,4	0,4	2	2	1	1	2	1
7 miesięcy	7,9	8,6	12	13	1,2	1,3	0,4	0,4	2	2	1	1	2	1
8 miesięcy	8,2	9	12	14	1,2	1,4	0,4	0,5	2	2	1	1	2	1
9 miesięcy	8,5	9,3	13	14	1,3	1,4	0,4	0,5	2	2	1	1	2	1
10 miesięcy	8,9	9,6	13	14	1,3	1,4	0,4	0,5	2	2	1	1	2	1
11 miesięcy	9,2	9,9	14	15	1,4	1,5	0,5	0,5	2	2	1	1	2	1
Rok	9,6	10,2	14	15	1,4	1,5	0,5	0,5	2	2	1	1	2	1
1,5 roku	10,9	11,6	16	17	1,6	1,7	0,5	0,6	2	2	1	1	2	1
2,5 roku	13,3	14	20	21	2,0	2,1	0,7	0,7	2	3	1	1	2,6	1
3,5 roku	15,5	16	23	24	2,3	2,4	0,8	0,8	3	3	1	1	3	1
4,5 roku	17,6	18,2	26	27	2,6	2,7	0,9	0,9	3	3	1	1	3	1

## Aneks 3. Koszty leków

Tabela 19. Koszty leków.

	Hidrasec 10 mg, 16 saszetek, EAN 5909990923878	Hidrasec 30 mg, 16 saszetek, EAN 5909990924035
Cena zbytu netto wnioskodawcy	████████	████████
Odpłatność	██	██
████████████████████████████████████████████████████████████████████████████████		
Cena detaliczna	████████	████████
Kwota refundacji	████████	████████
Kwota dopłaty pacjenta	████████	████████

## Aneks 4. Minimalne wymagania wobec analiz HTA

	Analiza wpływu na budżet	Rozdział	Komentarz
1	Czy zawiera oszacowanie rocznej liczebności populacji:		
	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana,	4.1.2	
	docelowej, wskazanej we wniosku,	4.1.3	
	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana?	4.1.4	
2	Czy zawiera oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, wydania decyzji o objęciu refundacją?	Aneks 8	
3	Czy zawiera oszacowanie <b>aktualnych</b> rocznych wydatków środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje?	3	Obecnie Hidrasec nie jest refundowany
4	Czy zawiera ilościową <b>prognozę</b> rocznych wydatków 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 <b>nie wyda decyzji</b> o objęciu refundacją?	2	Preparat nie jest obecnie refundowany
5	Czy zawiera ilościową <b>prognozę</b> 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 <b>wyda decyzję</b> o objęciu refundacją?	5.1, 5.2, 5.3	Scenariusze nowe – minimalny, maksymalny, najbardziej prawdopodobny
6	Czy zawiera oszacowanie dodatkowych wydatków środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt. 4 i 5, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii?	5.1, 5.2, 5.3	Preparat nie jest obecnie refundowany, koszty terapii są jednocześnie kosztami inkrementalnymi
7	Czy zawiera minimalny i maksymalny wariant oszacowania, o którym mowa w pkt. 6?	5.2, 5.3	Odpowiednio: scenariusz minimalny i maksymalny
8	Czy zawiera zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań?	4.5 Aneks 3	
9	Czy zawiera wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań, w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu?	Nie dotyczy	Lek tworzy nową grupę limitową
10	Czy zawiera dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania oraz prognozy?	Tak	Dokument dostarczony w postaci odrębnego arkusza Excel
11	Czy oszacowania i prognozy dokonywane są w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet (nie krótszy niż 2 lata)?	4.3	Założono 2-letni horyzont czasowy analizy
12	Czy oszacowania oraz prognozy dokonano na podstawie oszacowań rocznej liczebności populacji?	4.2	
13	Czy jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji analiza zawiera dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne?	5.2, 5.3	Scenariusz minimalny i maksymalny
14	Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, to czy oszacowania i prognozy (pkt. 1-7), zostały przedstawione w następujących wariantach:		
	z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka,	Nie dotyczy	
	bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	5	
15	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analiza zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań ustawowych?	4	
16	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań ustawowych?	Nie dotyczy	
	<b>Ogólne adnotacje</b>		

17	Czy analizy: kliniczna, ekonomiczna, wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i racjonalizacyjna zawierają:		
	dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości, umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej wykorzystanej publikacji,	Piśmiennictwo	
	wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii?	Piśmiennictwo	



**Aneks 5. Sprzedaż preparatów Hirdrasc do aptek wg IMS**

	Units APR/13 (Absolute)	Units MAY/13 (Absolute)	Units JUN/13 (Absolute)	Units JUL/13 (Absolute)	Units AUG/13 (Absolute)	Units SEP/13 (Absolute)	Units OCT/13 (Absolute)	Units NOV/13 (Absolute)	Units DEC/13 (Absolute)
Razem	3 923	2 992	3 409	3 133	4 031	3 787	4 956	6 086	4 910
POWD. SACHET 10 MG 16	2 097	1 714	1 993	1 874	2 272	2 291	2 880	3 331	2 646
POWD. SACHET 30 MG 16	1 826	1 278	1 416	1 259	1 759	1 496	2 076	2 755	2 264

## Spis tabel

Tabela 1. Problem decyzyjny zdefiniowany w schemacie PICO.....	14
Tabela 2. Rozpowszechnienie biegunek u dzieci do 3 lat - Huilan 1991.....	17
Tabela 3. Zachorowania na różne postaci zakażenia żołądkowo-jelitowego w Polsce – dane Państwowego Zakładu Higieny.....	20
Tabela 4. Liczba hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń żołądka i jelit w populacji dzieci – dane NFZ (JGP P22).....	21
Tabela 5. Liczba hospitalizacji z powodu infekcyjnych i nieinfekcyjnych zapaleń żołądka i jelit w populacji dorosłych – dane NFZ (JGP F47).....	22
Tabela 6. Oszacowanie ceny produktu leczniczego Hidrasec (racekadotryl).....	26
Tabela 7. Szacowana wielkość populacji w analizowanych scenariuszach.....	30
Tabela 8. Wyniki – scenariusz najbardziej prawdopodobny.....	31
Tabela 9. Wyniki – scenariusz obecny wariant najbardziej prawdopodobny, perspektywa płatnika-pacjenta.....	33
Tabela 10. Wyniki – scenariusz minimalny.....	34
Tabela 11. Wyniki – scenariusz obecny wariant minimalny, perspektywa płatnika-pacjenta.....	34
Tabela 12. Wyniki – scenariusz maksymalny.....	35
Tabela 13. Wyniki – scenariusz obecny wariant maksymalny, perspektywa płatnika-pacjenta.....	37
Tabela 14. Udział hospitalizacji w ramach grupy JGP P22.....	43
Tabela 15. Struktura wiekowa hospitalizacji JGP P22.....	43
Tabela 16. Dane ogólne dla JGP P22.....	43
Tabela 17. Dawkowanie w oparciu o saszetki.....	44
Tabela 18. Dawkowanie wg mg/kg masy ciała.....	45
Tabela 19. Koszty leków.....	46

## **Spis rysunków**

Rysunek 1. Struktura zachorowań dla populacji 0-6 lat.....	17
Rysunek 2. Struktura zachorowań dla populacji docelowej, wskazanej we wniosku.....	18

## Piśmiennictwo

---

<sup>1</sup> Baqui AH, Black RE, Yunus M, Hoque AR, Chowdhury HR, Sack RB. Methodological issues in diarrhoeal diseases epidemiology: definition of diarrhoeal episodes. *Int J Epidemiol.* 1991 Dec;20(4):1057-63.

<sup>2</sup> Guarino A, Albano F, Ashkenazi S, Gendrel D, Hoekstra JH, Shamir R, Szajewska H; European Society for Paediatric Gastroenterology, Hepatology, and Nutrition; European Society for Paediatric Infectious Diseases. European Society for Paediatric Gastroenterology, Hepatology, and Nutrition/European Society for Paediatric Infectious Diseases evidence-based guidelines for the management of acute gastroenteritis in children in Europe. *J Pediatr Gastroenterol Nutr.* 2008 May;46 Suppl 2:S81-122.

<sup>3</sup> Parashar UD, Hummelman EG, Bresee JS, Miller MA, Glass RI. Global illness and deaths caused by rotavirus disease in children. *Emerg. Infect. Dis.* 2003; 9(5): 565-572.

<sup>4</sup> Black RE, Cousens S, Johnson HL, Lawn JE, Rudan I, Bassani DG, Jha P, Campbell H, Walker CF, Cibulskis R, Eisele T, Liu L, Mathers C; Child Health Epidemiology Reference Group of WHO and UNICEF. Global, regional, and national causes of child mortality in 2008: a systematic analysis. *Lancet.* 2010 Jun 5;375(9730):1969-87.

<sup>5</sup> Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczenia Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi. Choroby zakaźne i zatrucia w Polsce w 2011 roku. Podstawowe tablice robocze – wstępne dane stan w dniu 29.02.2012 r. Warszawa 2012.

<sup>6</sup> [www.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2011/Ch\\_2011.pdf](http://www.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2011/Ch_2011.pdf)

<sup>7</sup> Huilan S, Zhen LG, Mathan MM, Mathew MM, Olarte J, Espejo R, Khin Maung U, Ghafoor MA, Khan MA, Sami Z, et al. Etiology of acute diarrhoea among children in developing countries: a multicentre study in five countries. *Bull World Health Organ.* 1991;69(5):549-55.

<sup>8</sup> <http://prog.nfz.gov.pl/app-jgp/>

