

**Toksyna botulinowa typu A  
(BOTOX®) w leczeniu nietrzymania moczu u  
pacjentów z nadreaktywnością mięśnia wypie-  
racza pęcherza moczowego  
o podłożu neurogennym**

**Odpowiedź na pismo  
nr MZ-PLR-460-16089-21/MS/14**

**Nr sprawy: R13082791**

---



Warszawa

2014





<b>Wprowadzenie.....</b>	<b>5</b>
<b>Uwaga 1.....</b>	<b>6</b>
<b>Uwaga 2.....</b>	<b>8</b>
<b>Uwaga 3.....</b>	<b>9</b>
<b>Uwaga 4.....</b>	<b>12</b>
<b>Uwaga 5.....</b>	<b>13</b>
<b>Uwaga 6.....</b>	<b>17</b>
<b>Inne uwagi do analizy ekonomicznej .....</b>	<b>24</b>
<b>Spis tabel.....</b>	<b>27</b>
<b>Piśmiennictwo .....</b>	<b>28</b>

## **Wprowadzenie**

Poniższe komentarze do uwag, zawartych w piśmie MZ z dnia 12.03.2014 r. MZ-PLR-460-16089-21/MS/14 (nr sprawy R13082791), dotyczą analiz przygotowanych przez firmę HealthQuest Sp. z o.o. Sp. k.

## Uwaga 1

*Kryteria selekcji badań pierwotnych do przeglądu systematycznego, w zakresie charakterystyki populacji, w której prowadzone były badania są niezgodne z populacją wskazaną we wniosku §4. ust. 2 pkt 1 rozporządzenia. W analizie zdefiniowano populację jako „dorośli z nietrzymaniem moczu z nadaktywnością mięśnia wypieracza o podłożu neurogennym po urazach rdzenia kręgowego lub ze stwardnieniem rozsianym”. Z kolei populację zdefiniowaną we wniosku o objęcie refundacją opisano: „nietrzymanie moczu u pacjentów dorosłych z nadreaktywnością mięśnia wypieracza pęcherza moczowego o podłożu neurogennym, po stabilnych urazach rdzenia kręgowego poniżej odcinka szyjnego oraz u pacjentów ze stwardnieniem rozsianym”. Mając na uwadze powyższe można stwierdzić iż definicja populacji docelowej przeglądu jest szersza od populacji, w której wnioskowana technologia ma być stosowana.*

## Komentarz:

[Redacted content]

[REDACTED]



## Uwaga 2

*Analiza kliniczna nie zawiera opisu procedury przypisania osób do badanych technologii dla badań pierwotnych włączonych do przeglądu systematycznego (§4. Ust. 3 pkt 5 lit c rozporządzenia)*

### Komentarz

W poniższej tabeli uzupełniono opis procedury przypisania osób do badanych technologii dla badań pierwotnych włączonych do przeglądu systematycznego skuteczności i bezpieczeństwa toksyny botulinowej typu A w leczeniu NDO.

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









## **Uwaga 4**

*Przedstawiony w analizie ekonomicznej diagram QUOROM, dotyczący selekcji badań użyteczności nie zawiera liczby doniesień naukowych wykluczonych w jednym z etapów (§ 5 ust.12 Rozporządzenia).*

### **Komentarz:**

W ramach przeglądu badań użyteczności odrzucono 77 prac na podstawie abstraktów i tytułów.



## **Uwaga 5**

*Analiza wpływu na budżet nie zawiera oszacowania aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku (§ 6 ust. 1 pkt 3 Rozporządzenia). Nie przedstawiono wydatków całkowitych związanych z leczeniem pacjentów we wnioskowanym wskazaniu.*

### **Komentarz:**

[Redacted content]

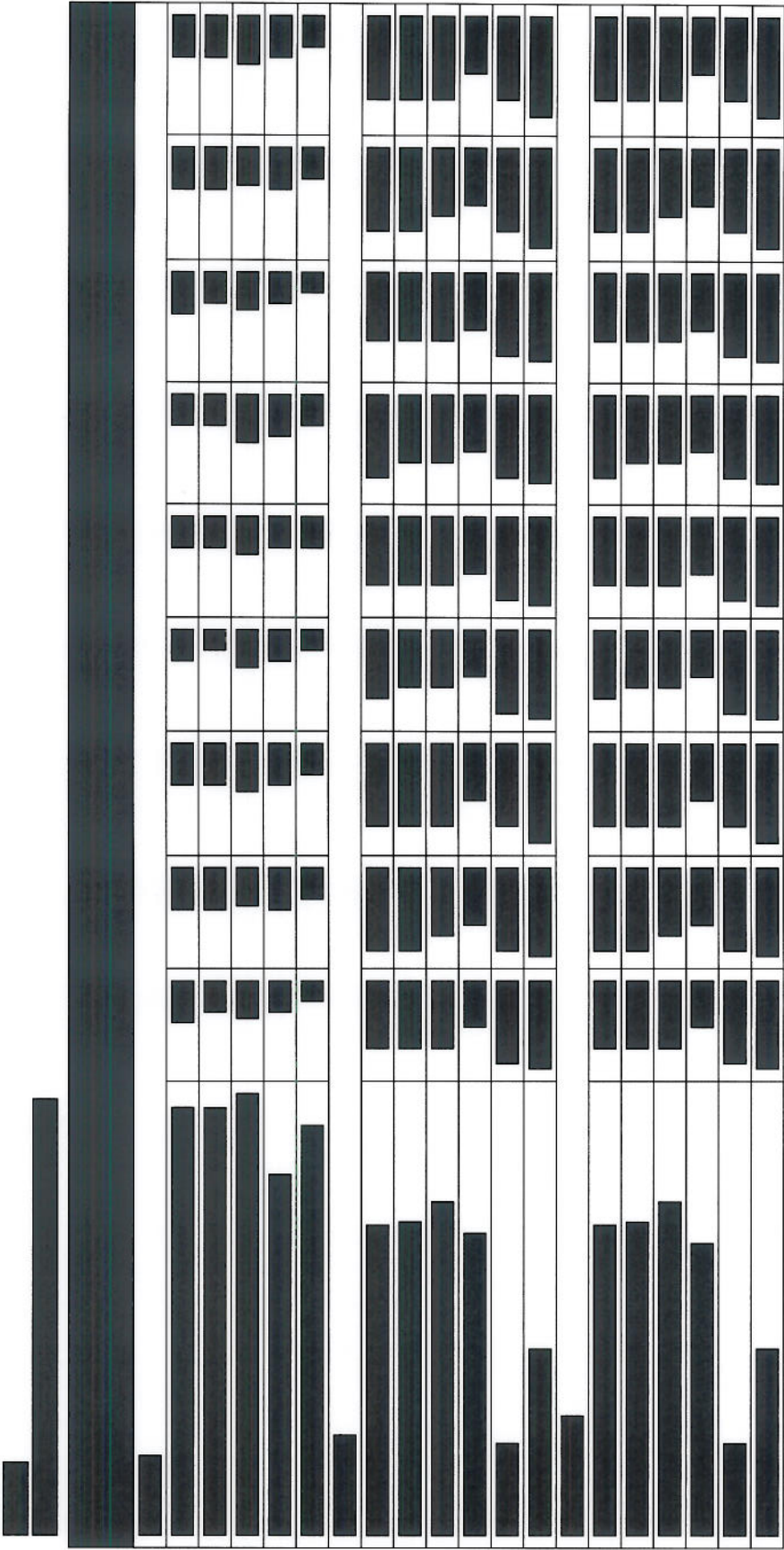






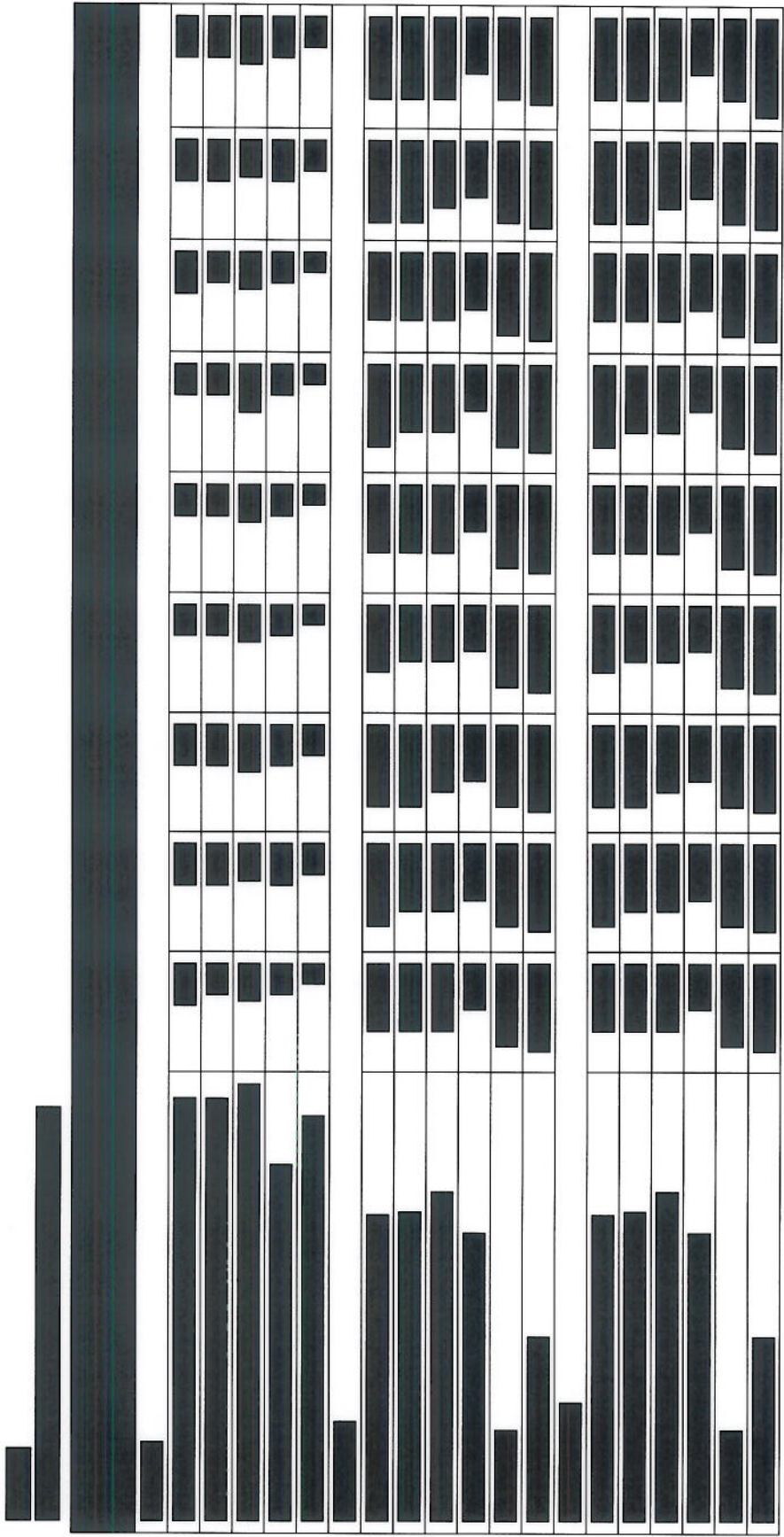




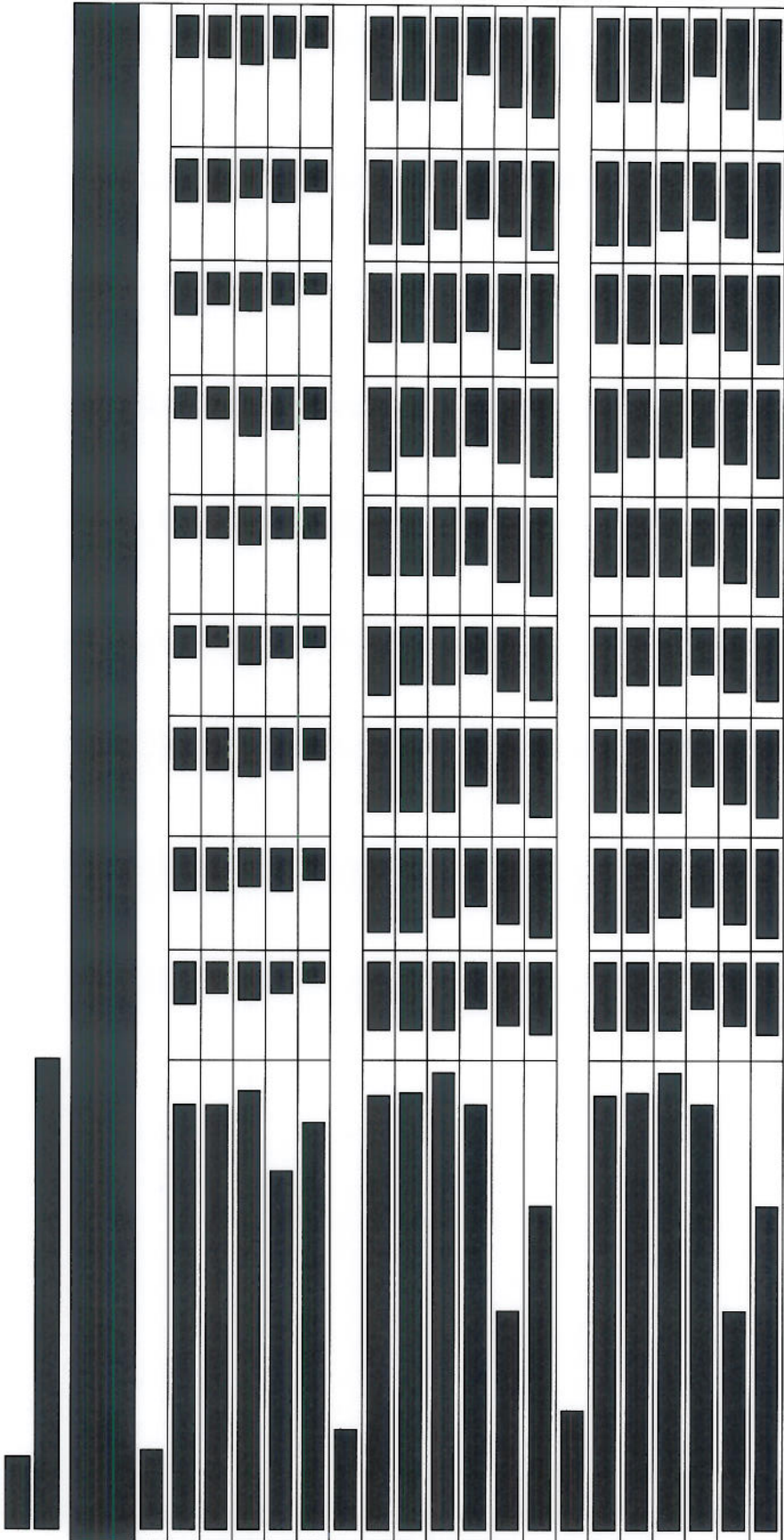














The image displays a complex grid-based diagram. On the left side, there is a large, solid black vertical bar. To its right, a grid of cells is arranged in 10 rows and 10 columns. Each cell contains a pattern of black bars of varying heights and widths, creating a barcode-like appearance. The patterns in the cells are organized into three main vertical sections: a 5-column section on the left, a 5-column section in the middle, and a 5-column section on the right. The bottom row of the grid contains the most prominent and tallest bars, while the top rows contain shorter, more fragmented patterns. The overall structure suggests a data visualization or a technical drawing related to signal processing or digital communication.

## **Uwaga 7**

*Analiza wpływu na budżet nie zawiera wskazania warunków objęcia refundacją dotyczących utworzenia nowej odrębnej grupy limitowej bądź kwalifikacji do wspólnej, istniejącej grupy limitowej (§ 6 ust. 5 oraz § 6 ust. 6 Rozporządzenia), w związku z czym niespełniony jest również § 6 ust. 1 pkt 9 Rozporządzenia.*

### **Komentarz:**

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]





A table with 4 columns and 2 rows. The first column contains a vertical list of small, illegible items. The remaining three columns contain data that has been redacted with black bars. A horizontal grey bar is present at the top right of the table area.

Redacted text block consisting of two lines of blacked-out content.

A table with 4 columns and 7 rows. The first column contains a vertical list of small, illegible items. The remaining three columns contain data that has been redacted with black bars. A horizontal grey bar is present at the top of the table area.

## Spis tabel

Tab. 1 Cena preparatu BOTOX® bez uwzględnienia obowiązującego RSS.....	9
Tab. 2 Wyniki analizy kosztów-konsekwencji: scenariusz podstawowy: koszty bez RSS.....	9
Tab. 3 Wyniki analizy: scenariusz podstawowy bez RSS. ....	10
Tab. 4 Wyniki analizy wrażliwości bez RSS: scenariusz po zmianie zestawu użyteczności na wyznaczony metodą bezpośrednią. ....	10
Tab. 5 Wyniki analizy wrażliwości bez RSS: scenariusz dla 33-letniego horyzontu czasowego (dożywotniego). ....	10
Tab. 6 Wyniki analizy wrażliwości bez RSS: scenariusz po zmianie stopy dyskontowej. ....	11
Tab. 28 Koszty scenariusza istniejącego, podstawowego. ....	14
Tab. 29 Koszty scenariusza istniejącego, maksymalnego. ....	15
Tab. 30 Koszty scenariusza istniejącego, minimalnego. ....	16
Tab. 31 Koszty scenariusza nowego, podstawowego. ....	18
Tab. 32 Koszty scenariusza nowego, maksymalnego. ....	19
Tab. 33 Koszty scenariusza nowego, minimalnego.....	20
Tab. 34 Koszty inkrementalne, scenariusz podstawowy. ....	21
Tab. 35 Koszty inkrementalne, scenariusz maksymalny.....	22
Tab. 36 Koszty inkrementalne, scenariusz minimalny.....	23
Tab. 7 Analiza progowa: analiza wrażliwości (próg: 111 381 zł) – analiza z RSS.....	25
Tab. 8 Analiza progowa: analiza wrażliwości (próg: 111 381 zł) – analiza bez RSS.....	26

## Piśmiennictwo

---

- <sup>1</sup> Schurch B, de Sèze M, Denys P et al. Botulinum toxin type a is a safe and effective treatment for neurogenic urinary incontinence: results of a single treatment, randomized, placebo controlled 6-month study. *J Urol.* 2005 Jul;174(1):196-200.
- <sup>2</sup> Schurch B, Schulte-Baukloh H. Botulinum Toxin in the Treatment of Neurogenic Bladder in Adults and Children. *European Urology*, 2006, Supplements 679-684.
- <sup>3</sup> Schurch B, Denys P, Kozma CM, et al. Botulinum toxin A improves the quality of life of patients with neurogenic urinary incontinence. *Eur Urol.* 2007a Sep;52(3):850-8.
- <sup>4</sup> Cruz F, Herschorn S, Aliotta P et al. Efficacy and safety of onabotulinumtoxinA in patients with urinary incontinence due to neurogenic detrusor overactivity: a randomised, double-blind, placebo-controlled trial. *Eur Urol.* 2011 Oct;60(4):742-50.
- <sup>5</sup> Sussman D, Patel V, Del Popolo G, et al. Treatment satisfaction and improvement in health-related quality of life with onabotulinumtoxinA in patients with urinary incontinence due to neurogenic detrusor overactivity. *Neurourol Urodyn.* 2013 Mar;32(3):242-9.
- <sup>6</sup> Ginsberg D, Gousse A, Keppenne V et al. Phase 3 efficacy and tolerability study of onabotulinumtoxinA for urinary incontinence from neurogenic detrusor overactivity. *J Urol.* 2012 Jun;187(6):2131-9.
- <sup>7</sup> <http://clinicaltrials.gov/ct2/results?term=NCT00575016>
- <sup>8</sup> Herschorn S, Gajewski J, Ethans K et al. Efficacy of botulinum toxin A injection for neurogenic detrusor overactivity and urinary incontinence: a randomized, double-blind trial. *J Urol.* 2011 Jun;185(6):2229-35.
- <sup>9</sup> ██████████ Toksyna botulinowa typu A (BOTOX®) w leczeniu nietrzymania moczu u pacjentów z nadreaktywnością mięśnia wypieracza pęcherza moczowego o podłożu neurogenym. Analiza ekonomiczna. HealthQuest, Warszawa 2013.
- <sup>10</sup> ██████████ Toksyna botulinowa typu A (BOTOX®) w leczeniu nietrzymania moczu o podłożu neurogenym. Analiza wpływu na budżet. HealthQuest, Warszawa 2013.