

**Botox® (toksyna botulinowa typu A) w leczeniu
poudarowej spastyczności kończyny dolnej –
stopa końsko-szpotawa w obrębie stawu
skokowego**

Analiza racjonalizacyjna



Warszawa

Styczeń 2016

Autorzy raportu:

[REDACTED]

Wkład pracy:

- T.M.: główny autor, wyszukiwanie danych, obliczenia, edycja dokumentu, kierownictwo prac, kontrola ostatecznej wersji raportu
- D.C.: edycja dokumentu, wyszukiwanie danych, obliczenia.
- M.N.: konsultacje merytoryczne.

Adres do korespondencji:

[REDACTED]

Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:

Allergan Sp. z o.o. z siedzibą w Warszawie 02-674, ul. Marynarska 15

Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:

[REDACTED]

Spis treści

Spis treści	3
1 Wstęp	4
2 Cel analizy	6
3 Wyniki analizy wpływu na budżet.....	6
4 Proponowane rozwiązanie	8
5 Metody.....	10
6 Wyniki analizy racjonalizacyjnej	10
Spis tabel.....	12
Piśmiennictwo	13

1 Wstęp

Zgodnie z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. nr 122 poz. 696) analiza racjonalizacyjna powinna być przedkładana w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.¹ Analiza ta powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet.

W zakresie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych (w wąskim rozumieniu tych zapisów) można zidentyfikować następujące rozwiązania:

1. Likwidacja jednej lub więcej grup limitowych.
2. Zmiana definicji jednej lub więcej grup limitowych (redukcja liczby preparatów objętych grupą limitową, utworzenie nowej grupy limitowej, połączenie grup limitowych).
3. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych.
4. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych niestanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych w sposób, który spowodowałby, że leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyroby medyczne, których dotyczyłaby redukcja ceny detalicznej stałyby się podstawą limitów w swoich grupach limitowych.
5. Zmiana poziomu odpłatności pacjenta dla grupy limitowej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych na wyższy w stosunku do obecnie obowiązującego.

Analizując wymienione wyżej warianty można wyszczególnić rozwiązania, w których uwolnienie środków publicznych wiąże się ze wzrostem kosztów po stronie:

- pacjentów,
- podmiotów odpowiedzialnych,
- obu wymienionych wyżej grup.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie pacjentów należą rozwiązania opisane w punktach 1 i 5. Również rozwiązanie opisane w punkcie 2

związane z redukcją liczby preparatów objętych grupą limitową niesie ze sobą znaczne ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie podmiotów odpowiedzialnych należy rozwiązanie opisane w punkcie 2 (wycofanie preparatu), przy czym należy podkreślić, że w tym przypadku również istnieje ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta (np. w przypadku, w którym pacjenci są przywiązani do leku, który został skreślony z listy refundacyjnej).

Pozostałe zaproponowane rozwiązania prowadzą w konsekwencji do obniżenia limitu w grupie limitowej (lub zwiększenia poziomu odpłatności pacjenta), przy czym konsekwencje (wzrost kosztów tj. w tym wypadku redukcja zysków) w założeniu powinny dotyczyć głównie podmiotów odpowiedzialnych zakładając, że pacjenci z definicji będą wybierali leki o niższych cenach. W przypadku istnienia innego niż cena mechanizmu wpływającego na preferencje pacjentów, przywiązanie do poszczególnych preparatów, których ceny są wyższe od preparatów stanowiących limit w grupie, przy obniżonym limicie będzie skutkowało zwiększeniem kosztów również po stronie pacjenta.

Opracowanie mechanizmu bazującego na rozwiązaniu wyłączenie z zakresu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego lub wyrobów medycznych, który spowoduje uwolnienie środków publicznych bez negatywnych konsekwencji dla pacjentów jest ograniczone. Jedynym mechanizmem, który nie powinien wpływać na wzrost kosztów po stronie pacjentów jest obniżenie cen wszystkich preparatów refundowanych w obrębie danej grupy limitowej. Przy czym należy podkreślić, że obniżenie cen wszystkich preparatów może nieproporcjonalnie w stosunku do cen detalicznych niektórych preparatów zmniejszyć limit w stopniu skutkującym wzrostem kosztów po stronie pacjenta.

Mając na uwadze opisane wyżej mechanizmy dot. uwolnienia środków publicznych należy podkreślić, że z praktycznego punktu widzenia, obniżenie ceny preparatu znajdującego się obecnie na liście refundacyjnej bądź usunięcie go z tej listy jest utrudnione ze względu na obowiązujące przepisy ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. W myśl ustawy (art. 33):

1. Minister właściwy do spraw zdrowia uchyla decyzją administracyjną o objęciu refundacją leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, w przypadku:

- 1) stwierdzenia braku deklarowanej skuteczności terapeutycznej;*
- 2) stwierdzenia ryzyka stosowania niewspółmiernego do efektu terapeutycznego;*
- 3) podważenia wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w art. 12 pkt 3–10;*

4) *gdy zobowiązanie, o którym mowa w art. 25 pkt 4, nie zostanie dotrzymane w zakresie dotyczącym zapewnienia ciągłości dostaw lub rocznej wielkości dostaw, i nastąpi niezaspokojenie potrzeb świadczeniobiorców.*

Minister Zdrowia podejmuje również decyzję o skróceniu czasu obowiązywania decyzji o refundacji lub zmianie ceny urzędowej w oparciu o wniosek, do którego złożenia uprawniony jest Wnioskodawca (podmiot odpowiedzialny, przedstawiciel podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. - Prawo farmaceutyczne, wytwórca wyrobów medycznych, jego autoryzowany przedstawiciel, dystrybutor albo importer, w rozumieniu ustawy z dnia 20 maja 2010 r. o wyrobach medycznych (Dz. U. Nr 107, poz. 679), a także podmiot działający na rynku spożywczym).

W związku z powyższym, wykonanie analizy racjonalizacyjnej pokazującej rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, ograniczają przepisy, które warunkują uwolnienie tych środków decyzją wielu podmiotów, na które Wnioskodawca nie ma wpływu.

Ograniczenia formalne oraz trudne do przewidzenia mechanizmy i strategie rynkowe poszczególnych podmiotów, skutkują przyjęciem szeregu założeń. Stąd zaproponowane rozwiązanie racjonalizacyjne, niezależnie od jego typu, powinno być interpretowane zawsze w kontekście powyższych ograniczeń i przyjętych założeń.

2 Cel analizy

Celem analizy racjonalizacyjnej jest przedstawienie rozwiązania, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków finansowych płatnika publicznego w wysokości odpowiadającej dodatkowym kosztom finansowania nowego programu lekowego w kolejnych latach.

3 Wyniki analizy wpływu na budżet

Analiza wpływu na budżet wykazała, że:

- Dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego koszty całkowite związane z prowadzeniem leczenia bez uwzględnienia proponowanego RSS wyniosą od 6 390 252 zł w 1. roku do 22 324 872 zł w 4. roku i będą wyższe w stosunku do kosztów prowadzenia leczenia w niezmiennych warunkach (scenariusz obecny) o 4 072 674 zł, 8 288 622 zł, 11 623 154 zł i 14 228 221 zł odpowiednio w 1., 2., 3. i 4. roku analizy. Po uwzględnieniu proponowanego RSS koszty całkowite związane z prowadzeniem leczenia wyniosą od [REDACTED]

- [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED] odpowiednio w 1., 2., 3. i 4. roku analizy.
- Dla scenariusza minimalnego koszty całkowite związane z prowadzeniem leczenia bez uwzględnienia proponowanego RSS wyniosą od 5 608 313 zł w 1. roku do 19 593 106 zł w 4. roku i będą wyższe w stosunku do kosztów prowadzenia leczenia w niezmiennych warunkach (scenariusz obecny) o 3 290 735 zł, 6 697 237 zł, 9 391 552 zł i 11 496 456 zł odpowiednio w 1., 2., 3. i 4. roku analizy. Po uwzględnieniu proponowanego RSS koszty całkowite związane z prowadzeniem leczenia wyniosą od 4 261 328 zł w 1. roku do [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED] odpowiednio w 1., 2., 3. i 4. roku analizy.
 - Dla scenariusza maksymalnego koszty całkowite związane z prowadzeniem leczenia bez uwzględnienia proponowanego RSS wyniosą od 9 153 244 zł w 1. roku do 50 342 842 zł w 4. roku i będą wyższe w stosunku do kosztów prowadzenia leczenia w niezmiennych warunkach (scenariusz obecny) o 6 195 520 zł, 15 488 800 zł, 24 782 080 zł i 34 075 360 zł odpowiednio w 1., 2., 3. i 4. roku analizy. Po uwzględnieniu proponowanego RSS koszty całkowite związane z prowadzeniem leczenia wyniosą od [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED] odpowiednio w 1., 2., 3. i 4. roku analizy.

4 Proponowane rozwiązanie

W ramach analizy racjonalizacyjnej proponowane jest rozwiązanie polegające na wprowadzeniu odpowiedników dla trastuzumabu (Herceptin®; grupa limitowa 10B2.0).

Wygenerowane w ten sposób oszczędności dla płatnika będą wystarczające, aby pokryć dodatkowe wydatki związane z finansowaniem nowego programu lekowego.

Analizę pokazującą rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, oparto na mechanizmie opisanym w pkt. 3 rozdziału 1, tj. założeniu redukcji ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego). W niniejszej analizie wykorzystano możliwość obniżenia limitu finansowania, który wynikać będzie z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie stosowanej substancji.

W analizie wykorzystano oszczędności wynikające z wprowadzenia odpowiedników dla [REDAKTOWANE]. Wybór leku wynika z terminu wygaśnięcia praw ochrony patentowej dla tej substancji (1 luty 2015 r.), w związku z czym oszczędności będą generowane już od 2016 r.²

Wybrany lek stosowany jest w programie lekowym, co oznacza 100% poziom refundacji (kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatne). W związku z powyższym, wprowadzenie tańszych odpowiedników leku spowoduje obniżenie limitu finansowania ze środków publicznych nie powodując jednocześnie żadnych dodatkowych obciążeń dla świadczeniobiorców.

W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, które mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedynego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.¹

Mając na uwadze specyfikę refundacji leków w programach lekowych (leki wydawane bezpłatnie), należy założyć, że wprowadzenie tańszego odpowiednika spowoduje realne obniżenie ceny wszystkich kosztów leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do poziomu nie wyższego niż cena wprowadzonego odpowiednika - w tym wypadku oznacza to co najmniej 25% redukcję obowiązującej ceny urzędowej leku będącego przedmiotem niniejszej analizy.

W poniższej tabeli przedstawiono zestawienie obecnych cen t [REDAKTOWANE] oraz maksymalne ceny leku w tej grupie limitowej po wprowadzeniu odpowiedników.³

Tabela 1. Obecny koszt [redacted] oraz prognozowana cena po wprowadzeniu 1-go odpowiednika

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	ZAN	Grupa limitowa	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Wysokość limitu finansowania
Trasbuzumabum	[redacted] je ozek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 150 mg	1 fioła 15 ml	9909990955919	10920 Trasbuzumabum	2678,40	2912,52	2912,52
Trasbuzumabum	[redacted] je ozek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 150 mg	1 fioła 15 ml	I	10920 Trasbuzumabum	2009,90	2109,24	2109,24

5 Metody

Analizę racjonalizacyjną przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego w horyzoncie 4 lat.

Założono, że uwolnione środki będą na stałym poziomie w kolejnych latach.

Symulację przeprowadzono z uwzględnieniem jedynie kosztów leku, co wynika z braku wpływu proponowanego rozwiązania na inne obszary ochrony zdrowia.

Roczne koszty refundacji leków przyjęto zgodnie z ostatnimi komunikatami DGL za okres 9 miesięcy (styczeń 2015-wrzesień 2015).⁴

Wyniki przedstawiono w ujęciu rocznym, które pokazuje proporcjonalne oszczędności (uwolnienie środków) wynikające z redukcji cen leku będącego przedmiotem analizy racjonalizacyjnej.

6 Wyniki analizy racjonalizacyjnej

Zgodnie z ostatnimi komunikatami Departamentu Gospodarki Lekami (DGL), określającymi wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii za okres 9 miesięcy (styczeń 2015-wrzesień 2015), łączne koszty refundacji [redacted] wyniosły 198 183 069 zł, natomiast szacowane roczne koszty refundacji wyniosą 264 244 092 zł. Przy założeniu utrzymania wielkości sprzedaży, roczne koszty refundacji po wprowadzeniu odpowiedników i redukcji limitu o 25% wyniosą 225 948 576 zł.

Szacowana kwota uwolnionych środków wyniesie 38 295 515 zł, jest to więc kwota przekraczająca szacowany roczny wzrost kosztów związanych z finansowaniem nowego programu lekowego dla toksyny botulinowej typu A (Botox®) w leczeniu poudarowej spastyczności kończyny dolnej.

W tabeli 2 przedstawiono roczne koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności.

W tabeli 3 przedstawiono zestawienie maksymalnego wzrostu wydatków refundacyjnych związanych z wprowadzeniem programu lekowego dla toksyny botulinowej typu A (Botox®) w leczeniu poudarowej spastyczności kończyny dolnej oraz prognozowaną kwotę uwolnionych środków związanych z obniżeniem limitu refundacji na preparaty [redacted].

Tabela 2. Roczne koszty refundacji [redacted] oraz prognozowane oszczędności związane z wprowadzeniem pierwszego odpowiednika.

Substancja czynna	Obecna wysokość limitu finansowania	Wysokość limitu finansowania po wprowadzeniu odpowiedników [redukcja 2,5%]	Refundacja styczeń-wrzesień 2015	Sprzedaż styczeń-wrzesień 2015	Roczna prognoza refundacji	Prognoza refundacji po redukcji 2,5%	Różnica [oszczędności roczne]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	198 183 069 zł	80 342,41	264 244 092 zł	225 948 576 zł	38 295 515 zł

Tabela 3. Zestawienie maksymalnego wzrostu wydatków refundacyjnych związanych z wprowadzeniem programu lekowego dla toksyny botulinowej typu A (Botox®) w leczeniu poudarowej spastyczności kończyny dolnej oraz prognozowaną kwotę uwolnionych środków związanych z obniżeniem limitu refundacji na preparaty [redacted].

	1. rok	2. rok	3. rok	4. rok
wzrostu wydatków refundacyjnych związanych z wprowadzeniem programu lekowego dla toksyny botulinowej typu A (Botox®) w leczeniu poudarowej spastyczności kończyny dolnej	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
Prognozowane oszczędności związane z wprowadzeniem pierwszego odpowiednika trastuzumabu	38 295 515 zł	38 295 515 zł	38 295 515 zł	38 295 515 zł

Spis tabel

Tabela 1. Obecny koszt [REDACTED] oraz prognozowana cena po wprowadzeniu 1-go odpowiednika.....	9
Tabela 2. Roczne koszty refundacji [REDACTED] oraz prognozowane oszczędności związane z wprowadzaniem pierwszego odpowiednika.....	11
Tabela 3. Zestawienie maksymalnego wzrostu wydatków refundacyjnych związanych z wprowadzeniem programu lekowego dla toksyny botulinowej typu A (Botox®) w leczeniu podarowej spastyczności kończyny dolnej oraz prognozowaną kwotę uwolnionych środków związanych z obniżeniem limitu refundacji na preparaty [REDACTED].....	11

Piśmiennictwo

¹ 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. <http://isip.sejm.gov.pl/DetailsServlet?id=WDU20111220696> [dostęp 15.07.2015 r.].

² <http://www.gabionline.net/Biosimilars/Research/US-54-billion-worth-of-biosimilar-patents-expiring-before-2020>.

³ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 23 grudnia 2015 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 stycznia 2016 r. <http://www.mz.gov.pl/leki/refundacja/lista-lekow-refundowanych-obwieszczenia-ministra-zdrowia>

⁴ Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ). Komunikaty Departamentu Gospodarki Lekami (DGL). Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii za okres 9 miesięcy (styczeń 2015-wrzesień 2015). <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6791.html>