

Ekulizumab (Soliris®)
w leczeniu atypowego zespołu
hemolityczno-mocznicowego
(aHUS)

Analiza racjonalizacyjna

Warszawa

Październik 2015 (skorygowany wrzesień 2016)

Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:

Alexion Services Europe SPRL

Square De Meeûs 23

Brussels 100

Belgium

Phone: + 32 02 274 00 66

Fax +32 02 274 0061

Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:

Michał Opuchlik

Head of Operations in Poland

Email: OpuchlikM-Consultant@alxn.com

Tel.: 600 999 777

Cytowanie:

Ekulizumab (Soliris®) w leczeniu atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego (aHUS).
Analiza racjonalizacyjna. Październik 2015.

Spis treści

1. Cel analizy	5
2. Wyniki analizy wpływu na budżet.....	6
3. Zaproponowane rozwiązanie.....	8
4. Metodyka	11
5. Wyniki analizy racjonalizacyjnej	12
6. Podsumowanie	13
Spis tabel.....	14
Spis rysunków.....	15
Piśmiennictwo	16

1. Cel analizy

Analiza wpływu na budżet wykazała, że finansowanie ekulizumabu (Soliris®, Alexion) w ramach programu lekowego w populacji pacjentów z atypowym zespołem hemolityczno-mocznicowym (aHUS) związane jest ze wzrostem kosztów refundacji bez względu na wariant analizy.¹

Celem analizy racjonalizacyjnej jest zaproponowanie rozwiązania, którego wprowadzenie pozwoli zwolnić środki finansowe w wysokości odpowiadającej zwiększeniu kosztów wynikającym z finansowania ekulizumabu (Soliris®) w kolejnych latach.



2. Wyniki analizy wpływu na budżet

W analizie wpływu na budżet założono 2-letni horyzont obserwacji. Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu odpowiedzialnego za finansowanie świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia.

Wielkość populacji szacowano w oparciu o opinie polskich ekspertów klinicznych.

Liczbę pacjentów kwalifikujących się do leczenia ekulizumabem oszacowano na [REDACTED] pacjentów w pierwszym roku i [REDACTED] pacjentów w drugim roku.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono biorąc pod uwagę liczebność populacji pacjentów kwalifikujących się do leczenia ekulizumabem, dawkowanie ekulizumabu, koszt substancji czynnej, koszt kwalifikacji do programu lekowego, koszt szczepień, koszt podania ekulizumabu (dla wszystkich pacjentów leczonych ekulizumabem), koszt leczenia PChN, koszt przeszczepu, koszt wymiany osocza i koszt monitorowania leczenia (dla pacjentów leczonych ekulizumabem i BSC). W scenariuszu bazowym koszty stanów zdrowia oparto na wynikach modelu efektywności kosztów. Dane kosztowe oparto na oficjalnych danych publikowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

W analizie przyjęto cenę zbytu netto 1 fiolki ekulizumabu (300 mg) równą [REDACTED] zł. Cenę obliczono w oparciu o wartość [REDACTED] po przeliczeniu na Polską walutę – złoty, przyjmując średni kurs EUR/PLN równy 4,25 (średni kurs z dwóch lat [4,38] oraz prognozę Goldmana Sachsa na następnych 12 miesięcy [4,22]). Założono +8% podatek VAT i +[REDACTED]% marżę hurtową, co w efekcie końcowym daje cenę za 1 fiolkę równą [REDACTED] zł.

Wprowadzenie refundacji ekulizumabu w ramach programu lekowego w populacji pacjentów z aHUS wiąże się z dodatkowymi kosztami, niezależnie od przedstawionego wariantu analizy.

Największe dodatkowe koszty z perspektywy Narodowego Funduszu Zdrowia, związane z wprowadzeniem do refundacji ekulizumabu w ramach programu lekowego w populacji pacjentów z aHUS oszacowano w przypadku scenariusza maksymalnego ([REDACTED] pacjentów w pierwszym roku i [REDACTED] pacjentów w drugim roku analizy) – [REDACTED] zł w pierwszym roku i [REDACTED] zł w drugim roku.

Dodatkowe koszty z perspektywy Narodowego Funduszu Zdrowia oszacowane dla scenariusza maksymalnego przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 1. Wyniki maksymalne analizy.

Koszt		Rok 1.	Rok 2.
Liczebność populacji, aHUS		■	■
Scenariusz, w którym ekulizumab jest dostępny (tj. nowy scenariusz)			
Ekulizumab	koszt ekulizumabu	■	■
	koszt kwalifikacji do programu	■	■
	koszt podania ekulizumabu	■	■
	koszt szczepienia	■	■
	koszt monitorowania leczenia	■	■
	koszt stanu zdrowia	■	■
	całkowity koszt ekulizumabu	■	■
BSC	koszt PLEX	■	■
	koszt stanu zdrowia	■	■
	całkowity koszt BSC	■	■
całkowity koszt nowego scenariusza		■	■
Scenariusz, w którym ekulizumab nie jest dostępny (tj. obecny scenariusz)			
BSC	koszt PLEX	■	■
	koszt stanu zdrowia	■	■
	całkowity koszt BSC	■	■
wpływ na budżet, netto		■	■

3. Zaproponowane rozwiązanie

W ramach analizy racjonalizacyjnej zaproponowano rozwiązanie polegające na wprowadzeniu generycznych odpowiedników następujących leków:

- etanercept (Enbrel®; grupa limitowa 1050.2);
- rituksymab (MabThera®; grupa limitowa 1035.0);
- trastuzumab (Herceptin®; grupa limitowa 1082.0).

Otrzymane w ten sposób oszczędności w budżecie Narodowego Funduszu zdrowia są wystarczające do pokrycia dodatkowych kosztów wynikających z finansowania leczenia ekulizumabem w ramach programu lekowego pacjentów z aHUS.

Analizę przedstawiającą rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych przeprowadzono biorąc pod uwagę redukcję cen detalicznych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego). W analizie tej wykorzystano możliwość obniżenia poziomu limitu wynikającą z prowadzenia na rynek tańszych odpowiedników generycznych obecnie refundowanych substancji.

W analizie wykorzystano oszczędności wynikające z prowadzenia odpowiedników generycznych etanerceptu, rituksymabu i trastuzumabu. Wybór preparatów wynika z terminów wygaśnięcia ochrony patentowej dla tych substancji (odpowiednio w lutym 2015, listopadzie 2013 i lipcu 2014), dzięki czemu oszczędności generowane są od 2015 r.^{2,3}

Wybrane leki stosowane są w ramach programów lekowych, co wiąże się z faktem refundacji na poziomie 100% (poziom odpłatności: bezpłatnie). Wprowadzeni tańszych odpowiedników pozwoli zatem na obniżenie wysokości kosztów związanych z finansowaniem terapii bez dodatkowego obciążenia dla świadczeniobiorców.

Zgodnie z art 13 pkt 6 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych przyjęto założenie, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.⁴

Biorąc pod uwagę specyfikę sposobu refundacji w programach lekowych (leki wydawane bezpłatnie), należy przyjąć, że wprowadzenie tańszych generycznych odpowiedników spowoduje natychmiastową redukcję ceny wszystkich leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do wysokości ceny wprowadzonego leku generycznego – w tym przypadku oznacza to 25% redukcję obecnej urzędowej ceny leku będącego przedmiotem niniejszej analizy.

Zestawienie obecnych cen etanerceptu, rituksymabu and trastuzumabu oraz maksymalnych cen leków w obrębie ich grup limitowych po wprowadzeniu generycznych odpowiedników przedstawiono w tabeli poniżej.⁵

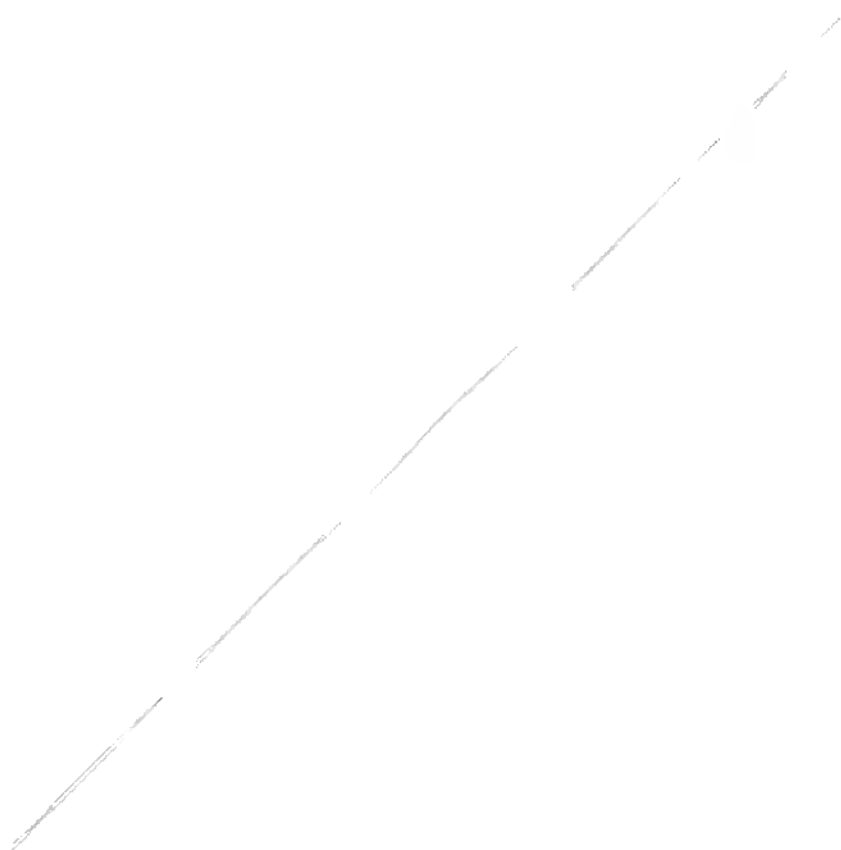


Tabela 2. Zestawienie obecnych cen etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu, oraz maksymalne ceny leków w tych grupach limitowych po wprowadzeniu odpowiedników generycznych.

Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	EAN	Urzędowa cena zbytu, PLN	Cena hurtowa brutto, PLN	Wysokość limitu finansowania PLN	Oficjalna cena zbytu GE,* PLN	Wysokość limitu finansowania,* PLN
Etanercept							
Enbrel, roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 50 mg	4 amp.-strz. (+8gazik.z alkoh.)	5909990618255	3996,00	4195,8	4195,80	2997,00	3146,85
Enbrel, roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 50 mg	4 wstrz. (+8gazik.z alkoh.)	5909990712755	3996,00	4195,8	4195,80	2997,00	3146,85
Enbrel, proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/ml	4 fiol. + 4 amp.-strz.+ 4 igły + 4 nasadki na fiol. + 8 gazików	5909990777938	1998,00	2097,9	2097,90	1498,50	1573,43
Enbrel, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań do stosowania u dzieci, 10 mg/ml	4 fiol. + 4 amp.-strz.+ 4 igły + 4 nasadki na fiol. + 8 gazików	5909990880881	799,20	839,16	839,16	599,40	629,37
Rituksymab							
MabThera, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg	2 fiol.a 10 ml	5909990418817	2445,01	2567,26	2567,26	1833,76	1925,45
MabThera, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 500 mg	1 fiol.a 50 ml	5909990418824	6112,52	6418,15	6418,15	4584,39	4813,61
Trastuzumab							
Herceptin, proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 150 mg	1 fiol.a 15 ml	5909990855919	2678,40	2812,32	2812,32	2008,80	2109,24

* redukcja limitu finansowania związana z redukcją cen urzędowych odpowiedników generycznych o około 25%. GE – generyczny odpowiednik

4. Metodyka

W analizie racjonalizacyjnej przyjęto 2-letni horyzont obserwacji (1. i 2. rok BIA). Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych tj. Narodowego Funduszu Zdrowia.

Założono stabilność uwolnionych środków w nadchodzących latach.

Ze względu na brak wpływu zaproponowanego rozwiązania na inne obszary opieki zdrowotnej, symulację przeprowadzono biorąc pod uwagę jedynie koszty leków.

Roczne koszty refundacji przyjęto zgodnie z komunikatem Departamentu Gospodarki Lekami za rok 2014 (okres od stycznia do grudnia 2014).^{6,7}

Wyniki przedstawiono w przeliczeniu na każdy rok, co pozwala przedstawić udział oszczędności (uwolnienie funduszy publicznych) wynikających z redukcji ceny leków będących przedmiotem analizy racjonalizacyjnej.

5. Wyniki analizy racjonalizacyjnej

Zgodnie z komunikatem Departamentu Gospodarki Lekami określającym wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii w czasie ostatniego roku (styczeń-grudzień 2014), szacowane całkowite koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu w kolejnych latach wyniosły ██████████ zł na rok, podczas gdy szacowane koszty refundacji odpowiedników generycznych wyniosły ██████████ zł.

Oszacowana wielkość uwolnionych środków publicznych wyniosła ██████████ zł, co przekracza oszacowany wzrost wydatków publicznych wynikający z finansowania leczenia ekulizumabem pacjentów z aHUS w ramach programu lekowego.

Koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu, jak również przewidywane oszczędności przedstawiono w tabeli poniżej. Roczne koszty refundacji przyjęto zgodnie z komunikatem Departamentu Gospodarki Lekami za rok 2014 (za okres od stycznia do grudnia 2014).^{6,7}

Tabela 3. Koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu oraz przewidywane oszczędności.

Lek	I rok	II rok
Przewidywane oszczędności dla leków oryginalnych, zł		
Etanercept	██████████	██████████
Rytuksymab	██████████	██████████
Trastuzumab	██████████	██████████
Razem	██████████	██████████
Przewidywane oszczędności dla odpowiedników generycznych, zł		
Etanercept	██████████	██████████
Rytuksymab	██████████	██████████
Trastuzumab	██████████	██████████
Razem	██████████	██████████
Oszczędności, zł		
Etanercept	██████████	██████████
Rytuksymab	██████████	██████████
Trastuzumab	██████████	██████████
Razem	██████████	██████████

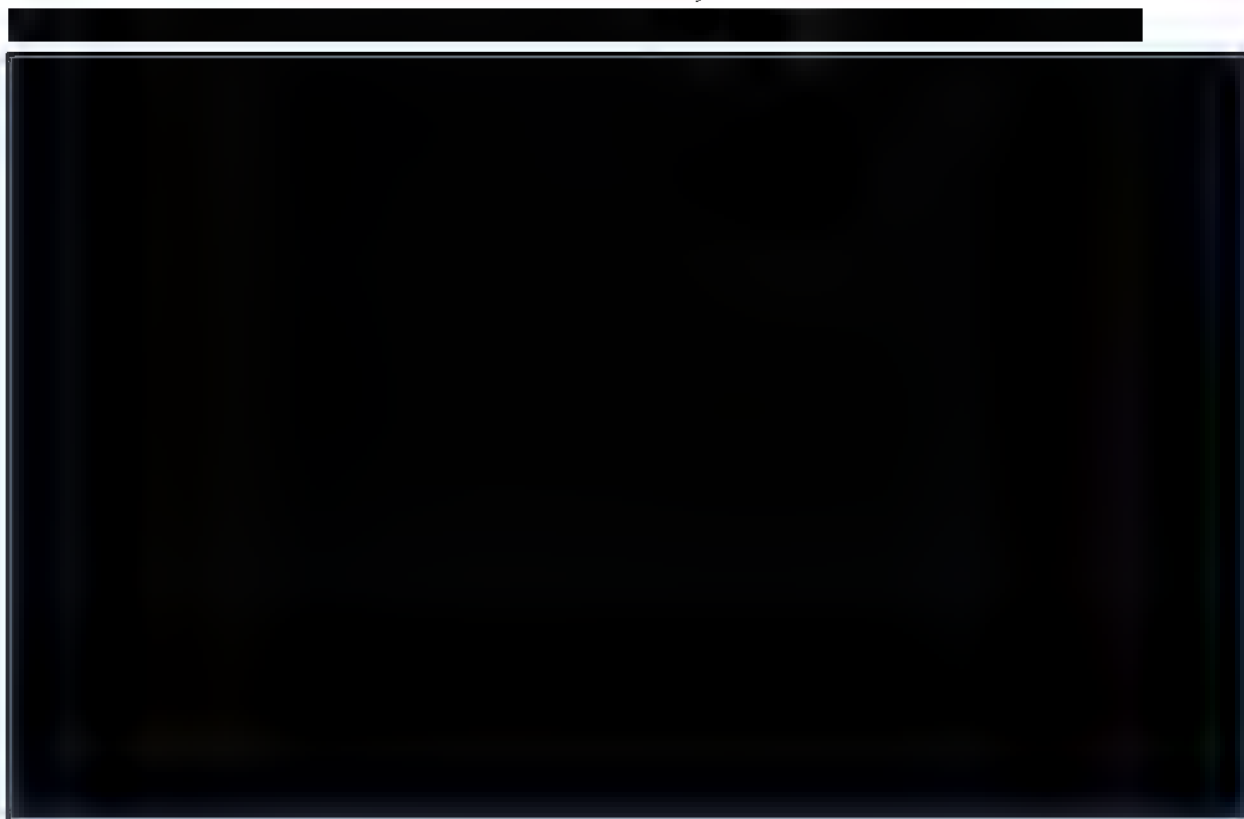
6. Podsumowanie

Potencjalne oszczędności z perspektywy polskiego płatnika publicznego, wynikające z wprowadzenia odpowiedników generycznych etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu, oszacowano na ██████████ zł w skali roku. Uwolnione środki mogą zostać wykorzystane do sfinansowania leczenia ekulizumabem we wnioskowanej populacji.

Dodatkowe koszty wynikające z wprowadzenia finansowania leczenia pacjentów z aHUS ekulizumabem w ramach programu lekowego (scenariusz maksymalny) oraz oszczędności związane z wprowadzeniem generycznych odpowiedników etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu przedstawiono na rysunku poniżej.

Oszacowane oszczędności wynikające z wprowadzenia odpowiedników generycznych dla odpowiedników etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu pozwalają na pokrycie dodatkowych wydatków budżetowych związanych z finansowaniem leczenia ekulizumabem pacjentów z aHUS.

Wysokość uzyskanych oszczędności przekracza wysokość środków niezbędnych do pokrycia dodatkowych wydatków budżetowych w analizowanym horyzoncie czasowym.



Spis tabel

Tabela 1. Wyniki maksymalne analizy.....	7
Tabela 2. Zestawienie obecnych cen etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu, oraz maksymalne ceny leków w tych grupach limitowych po wprowadzeniu odpowiedników generycznych.....	10
Tabela 3. Koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu oraz przewidywane oszczędności.....	12

Spis rysunków

Rysunek 1. Dodatkowe koszty i oszczędności z perspektywy Narodowego Funduszu Zdrowia.....	13
---	----



Piśmiennictwo

¹ Ekulizumab (Soliris®) w leczeniu atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego (aHUS). Analiza wpływu na budżet. Październik 2015.

² <http://www.gabionline.net/Biosimilars/Research/US-54-billion-worth-of-biosimilar-patents-expiring-before-2020> [dostęp 13.09.2015 r.].

³ Mullard A. Can next-generation antibodies offset biosimilar competition? Nature Reviews Drug Discovery 11, 426-428 (June 2012).

⁴ Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

⁵ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 26 sierpnia 2015 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 września 2015. <http://www.bip.mz.gov.pl/legislacja/akty-prawne/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-26-sierpnia-2015-r.-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow,-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-dzien-1-wrzesnia-2015-r.> [28.09.2015]

⁶ Narodowy Fundusz Zdrowia. Departament Gospodarki Lekami. Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (Styczeń - Grudzień 2014). <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6698.html> [13.09.2015]

⁷ Narodowy Fundusz Zdrowia. Departament Gospodarki Lekami. Errata informacji o wartości wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (Styczeń - Grudzień 2014). <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6715.html> [13.09.2015]