

**Bosutynib (Bosulif®)
w leczeniu
przewlekłej białaczki szpikowej**

Analiza racjonalizacyjna



Warszawa
kwiecień 2016

Autorzy raportu:

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Adres do korespondencji:

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

Konflikt interesów:

Opracowanie wykonane na zlecenie i finansowane przez Pfizer Polska Sp. z o.o.

Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:

Pfizer Polska Sp. z o.o.
ul. Postępu 17B
02-676 Warszawa
tel: +48 22 335 61 00
fax: +48 22 335 61 11

Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:

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

[REDACTED]
[REDACTED]

Spis treści

| | |
|---|----|
| Spis treści | 4 |
| 1 Wstęp | 5 |
| 2 Cel analizy | 8 |
| 3 Wyniki analizy wpływu na budżet | 9 |
| 4 Proponowane rozwiązanie | 10 |
| 5 Metody | 11 |
| 6 Wyniki analizy racjonalizacyjnej | 12 |
| 7 Podsumowanie | 13 |
| Spis tabel | 14 |
| Spis rycin | 15 |
| Piśmiennictwo | 16 |

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

związanie 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 zwiększenie 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 wyłącznie 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 decyzję 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 wnioski, 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

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia² w wariantcie bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka wykazała, że finansowanie bosutynibu (Bosulif®) w leczeniu dorosłych chorych z przewlekłą białaczką szpikową w fazie przewlekłej, fazie akceleracji lub fazie blastycznej, z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL lub chromosomu Philadelphia (Ph+), po nieskuteczności lub nietolerancji imatynibu, spełniających kryteria kwalifikacji do programu lekowego, jest związane z dodatkowymi wydatkami budżetowymi.

Wydatki wiążą się z zapewnieniem dostępu do nowoczesnej terapii o udowodnionej skuteczności, rekomendowanej przez autorów najnowszych wytycznych klinicznych (m.in. NCCN 2016, ELN 2013, PTOK 2013, PALG 2013) oraz agencje oceny technologii medycznych (m.in. SMC, IQWiG, CADTH).

Celem niniejszej analizy jest przedstawienie rozwiązania, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków finansowych płatnika publicznego w wysokości odpowiadającej dodatkowym kosztom finansowania bosutynibu w docelowej populacji chorych w kolejnych latach.

3 Wyniki analizy wpływu na budżet

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z punktu widzenia płatnika publicznego, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ), która jest tożsama z perspektywą wspólną NFZ i pacjenta. W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy obserwacji.

Na podstawie konsensusu ekspertów w analizie podstawowej liczbę chorych oszacowano na 330 w 1. i 2. roku analizy, w tym chorych leczonych bosutynibem - odpowiednio 37 i 66 pacjentów.

Wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej grupy limitowej w ramach katalogu B. Leki dostępne w ramach programu lekowego, przy wysokości limitu finansowania na poziomie ceny hurtowej brutto.

Wnioskowaną urzędową cenę zbytu bosutynibu (Bosulif, tabl. powł., 500 mg, 28 tabl.) przyjęto na poziomie [REDACTED] (cena zbytu netto: [REDACTED]). [REDACTED]

W ramach proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka Wnioskodawca zobowiązuje się do zapewnienia, że świadczeniodawca nabywający lek Bosulif, bosutynib, tabl. powł. 500 mg, 28 tabl., nabeździe go w cenie hurtowej brutto nie wyższej niż [REDACTED]

[REDACTED] (patrz *Analiza problemu decyzyjnego*³).

Wariant z instrumentem dzielenia ryzyka (RSS) stanowi analizę podstawową w niniejszym opracowaniu, ponieważ RSS stanowi integralną część pozytywnej decyzji refundacyjnej. W wariantcie z RSS wykazano oszczędności, w związku z czym w niniejszej analizie uwzględniono największe dodatkowe wydatki NFZ bez uwzględnienia RSS.

Największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ **bez uwzględnienia RSS** uzyskano w scenariuszu maksymalnym - [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy (patrz Tab. 1 poniżej).

Tab. 1. Największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ bez uwzględnienia RSS.

| | 1. rok | 2. rok |
|--|------------|------------|
| | [REDACTED] | [REDACTED] |

4 Proponowane rozwiązanie

Ze względu na brak zidentyfikowanych możliwości uwolnienia środków z grupy leków stosowanych w leczeniu populacji docelowej, w analizie przedstawiono możliwości uwolnienia środków w obrębie rynku innych grup terapeutycznych.

W ramach analizy racjonalizacyjnej wykorzystano możliwość obniżenia limitu finansowania, który wynikać będzie z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie stosowanej substancji - [REDACTED]

Wybór leku wynika z niedawnego terminu wygaśnięcia praw ochrony patentowej dla tej substancji, w związku z czym oszczędności mogą być generowane już w 2016 r.⁴ 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 automatyczne, natychmiastowe obniżenie ceny wszystkich leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do poziomu ceny wprowadzonego odpowiednika - w tym wypadku oznacza to co najmniej 25% redukcję obowiązującej ceny urzędowej leku będącego przedmiotem niniejszej analizy.

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).

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

5 Metody

Analizę racjonalizacyjną przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego w horyzoncie 2 lat (1. i 2. rok BIA).

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 leku przyjęto zgodnie z komunikatem DGL za 2015 rok.⁵

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 komunikatem Departamentu Gospodarki Lekami (DGL), określającym wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii w 2015 roku, łączne koszty refundacji [REDAKTED] wyniosły [REDAKTED], natomiast szacowane koszty refundacji po redukcji cen wyniosą [REDAKTED].

Szacowana kwota uwolnionych środków wyniesie [REDAKTED] rocznie, jest to więc kwota znacznie przekraczająca szacowany wzrost kosztów związanych z finansowaniem bosutynibu w docelowej populacji chorych w kolejnych latach analizy (patrz rozdz. 3).

W Tab. 2 poniżej przedstawiono roczne koszty refundacji [REDAKTED] oraz prognozowane oszczędności. Oszacowania przeprowadzono na podstawie komunikatu DGL za 2015 rok.⁵

Tab. 2. Roczne koszty refundacji [REDAKTED] oraz prognozowane oszczędności.

| Lek | Redukcja ceny | Kwota refundacji w 2015 r, PLN | Kwota refundacji po redukcji cen, PLN | Oszczędności, PLN |
|------------|---------------|--------------------------------|---------------------------------------|-------------------|
| [REDAKTED] | [REDAKTED] | [REDAKTED] | [REDAKTED] | [REDAKTED] |

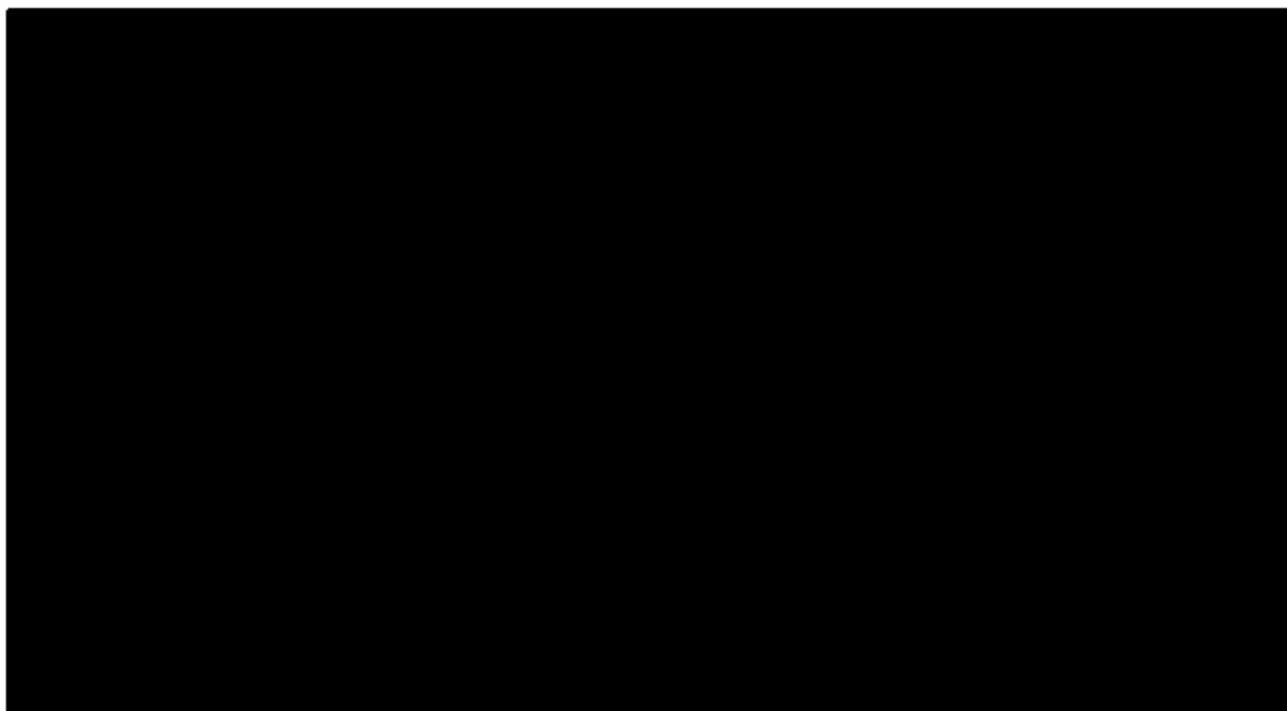
7 Podsumowanie

Potencjalne oszczędności dla płatnika publicznego w Polsce oszacowano na [REDACTED] rocznie, a uwolnione środki mogą zostać wykorzystane na finansowanie bosutynibu w leczeniu dorosłych chorych z przewlekłą białaczką szpikową w fazie przewlekłej, fazie akceleracji lub fazie blastycznej, z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL lub chromosomu Philadelphia (Ph+), po nieskuteczności lub nietolerancji imatynibu, spełniających kryteria kwalifikacji do programu lekowego w kolejnych latach.

Na Ryc. 1 przedstawiono dodatkowe obciążenia budżetowe związane z finansowaniem bosutynibu w docelowej populacji chorych w kolejnych 2 latach analizy (odpowiednio [REDACTED]) oraz prognozowane oszczędności ([REDACTED]).

Oszacowane oszczędności pozwolą na pokrycie dodatkowych wydatków związanych z finansowaniem bosutynibu. Wygenerowane oszczędności znacznie przekroczą środki niezbędne do pokrycia obciążeń budżetowych w analizowanym horyzoncie czasowym ([REDACTED] w 1. i 2. roku analizy).

Ryc. 1. Dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach.



Spis tabel

| | |
|--|----|
| Tab. 1. Największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ bez uwzględnienia RSS..... | 9 |
| Tab. 2. Roczne koszty refundacji [REDACTED] oraz prognozowane oszczędności..... | 12 |

Spis rycin

| | |
|---|----|
| Ryc. 1. Dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach..... | 13 |
|---|----|

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 21.04.2016 r.].

² ██████████ Bosutynib (Bosulif®) w leczeniu przewlekłej białaczki szpikowej. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia. Warszawa, kwiecień 2016.

³ ██████████ Bosutynib (Bosulif®) w leczeniu przewlekłej białaczki szpikowej. Analiza problemu decyzyjnego. Warszawa, kwiecień 2016.

⁴ <http://www.gabionline.net/Biosimilars/Research/US-54-billion-worth-of-biosimilar-patents-expiring-before-2020> [dostęp 21.04.2016 r.].

⁵ Komunikat Departamentu Gospodarki Lekami (DGL) z 23 marca 2016 r. Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń - grudzień 2015). <http://nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6839.html> [dostęp 21.04.2016 r.].