



IGNORANTIA NOCET

Translarna® (ataluren) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a warunkowanej przez mutację nonsensowną w genie dystrofiny u chorych chodzących w wieku od 5 lat

Analiza racjonalizacyjna
Wersja 1.1

Wykonawca:
MAHTA Sp. z o.o.
ul. Rejtana 17/5
02 - 516 Warszawa
Tel. 22 542 41 54
E-mail: biuro@mahta.pl

Przygotowano dla:
PTC Therapeutics International Limited

Warszawa, 27 października 2016 r.

Osoby do kontaktu:

[Redacted contact information]

[Redacted contact information]

27 października 2016 roku analiza została zmieniona w związku z uwagami zawartymi w piśmie PLR.4600.1188.3.2016.DD. Pierwotnie analiza została zakończona 13 czerwca 2016 roku.

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> ⊗ Koncepcja analizy; ⊗ Kontrola jakości
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> ⊗ Opracowanie koncepcji analizy; ⊗ Gromadzenie i opracowanie danych; ⊗ Opracowanie wyników; ⊗ Wnioski końcowe

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez [Redacted]

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy PTC Therapeutics International Limited, która finansowała pracę. Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	4
1. Cel analizy racjonalizacyjnej	5
2. Metodyka.....	5
3. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego	6
4. Podsumowanie danych wejściowych	9
5. Wyniki analizy racjonalizacyjnej.....	9
6. Podsumowanie i wnioski	11
7. Spis tabel	12
8. Bibliografia	13

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka

1. Cel analizy racjonalizacyjnej

Analiza racjonalizacyjna ma na celu wskazanie takich rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, które spowodują uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów ponoszonych przez podmiot zobowiązany do finansowania świadczeń ze środków publicznych, w związku z rozpoczęciem finansowania ze środków publicznych leku Translarna® stosowanego w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a warunkowanej przez mutację nonsensowną w genie dystrofiny u chorych chodzących w wieku od 5 lat finansowanego w ramach programu lekowego (*Wykaz leków refundowanych*).

Wyniki *Analizy wpływu na system ochrony zdrowia* [1] wskazują na wzrost wydatków w perspektywie płatnika publicznego w przypadku objęcia refundacją technologii wnioskowanej (rozdział 4).

2. Metodyka

Zgodnie z art. 25 pkt 14 lit. c *Ustawy refundacyjnej* [5] oraz *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r.* [4] analiza racjonalizacyjna przedstawiać powinna rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje oszczędności w środkach publicznych. W związku z tym, analiza skupia się tylko na wynikach w perspektywie płatnika publicznego.

W analizie rozważono horyzont czasowy pokrywający się z horyzontem *Analizy wpływu na system ochrony zdrowia*, tj. obejmujący okres od marca 2017 do końca lutego 2019 roku.

[REDACTED]

[Redacted text block]

3. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[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]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]









[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]

4. Podsumowanie i wnioski

W przeprowadzonej analizie racjonalizacyjnej przedstawiono rozwiązania, których wprowadzenie pozwoli na osiągnięcie znacznych oszczędności w budżecie płatnika publicznego. Oszczędności wykazane w analizie umożliwią pokrycie kosztów związanych z rozpoczęciem finansowania technologii wnioskowanej.

5.Spis tabel

Tabela 1. Część horyzontu, w którym generowane będą oszczędności dla płatnika publicznego w zależności od daty wydania decyzji refundacyjnej.....	8
Tabela 2. Podsumowanie danych wejściowych	9
Tabela 3. Wyniki analizy racjonalizacyjnej (PLN).....	10
Tabela 4. Inkrementalny wynik <i>Analizy racjonalizacyjnej</i> oraz <i>Analizy wpływu na system ochrony zdrowia</i> [PLN] – wariant z RSS	10
Tabela 5. Inkrementalny wynik <i>Analizy racjonalizacyjnej</i> oraz <i>Analizy wpływu na system ochrony zdrowia</i> [PLN] – wariant bez RSS	10

6. Bibliografia

1. ██████████ Translarna® (ataluren) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a warunkowanej przez mutację nonsensowną w genie dystrofiny u chorych chodzących w wieku od 5 lat – *analiza wpływu na system ochrony zdrowia*
 2. Narodowy Fundusz Zdrowia, Komunikat DGL: Wartość refundacji cen leków według kodów EAN (styczeń-grudzień 2015),
<http://www2.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6839.html>
(data dostępu: 11.05.2016)
 3. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2016 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 maja 2016 r.
 4. 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
 5. 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, z poz. zm.)
-