



IGNORANTIA NOCET

Minirin Melt[®] (desmopresyna) w leczeniu pierwotnego, izolowanego moczenia nocnego u dzieci – po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia
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:

Ferring Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o.

Warszawa, 14 kwietnia 2017 r.

Osoby do kontaktu:

[Redacted contact information]

MAHTA Sp. z o.o.

Warszawa 02-516
ul. Tadeusza Rejtana 17

zarejestrowana w Sądzie Rejonowym dla m.st. Warszawy, XIII Wydział Gospodarczy Krajowego Rejestru Sądowego

KRS: 0000331173
NIP: 521-352-90-98
REGON: 141874221

Kapitał zakładowy:
5 000,00 PLN
opłacony w pełnej wysokości

nr rachunku bankowego:
mBank
35 1140 2017 0000 4702 1008 6223

W dniu 14 kwietnia 2017 r. analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana w związku z uwagami zawartymi w Piśmie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji OT.4350.7.2017.TI.2. Pierwotnie analiza została zakończona 17 lutego 2017 r.

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> ⊗ Koncepcja analizy; ⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy; ⊗ Ocena kosztów; ⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej; ⊗ Wnioski końcowe
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> ⊗ Zdefiniowanie populacji; ⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy; ⊗ Aspekty etyczne i społeczne ⊗ Kontrola jakości;

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 Ferring Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie	6
1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....	11
2. Analiza wpływu na budżet	11
2.1. Metodyka analizy	11
2.2. Horyzont czasowy	12
2.3. Perspektywa	13
2.4. Scenariusze porównywane	13
2.5. Populacja.....	14
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	14
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku.....	17
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana.....	18
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	19
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	21
2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach.....	21
2.6. Koszt leczenia.....	22
2.6.1. Koszt desmopresyny	22
2.7. Podsumowanie danych wejściowych	25
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy	26
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe	26
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe.....	26
3. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....	31

4. Aspekty etyczne i społeczne	31
5. Założenia i ograniczenia	33
6. Podsumowanie i wnioski końcowe	34
7. Załączniki	36
7.1. Dane refundacyjne NFZ	36
7.2. Uzasadnienie braku utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej	37
7.3. DDD desmopresyny refundowana w we wnioskowanym wskazaniu w scenariuszu istniejącym i nowym	38
7.4. Liczba opakowań technologii wnioskowanej	39
7.5. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	40
8. Spis tabel	42
9. Spis rysunków	43
10. Bibliografia.....	44

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
DDD	dobowa dawka leku
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PIMN	pierwotne izolowane moczenie nocne
■	■

Streszczenie

CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji w sprawie zmiany brzmienia wskazania dotyczącego czasu postępowania wspomagającego i motywującego z 3 miesięcy na 1 miesiąc przed rozpoczęciem stosowania leku Minirin Melt[®] (desmopresyna) stosowanego w leczeniu pierwotnego, izolowanego moczzenia nocnego u dzieci powyżej 6. roku życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu. Analiza dotyczy 3 prezentacji leku: Minirin Melt, liofilizat doustny, 60 mcg; Minirin Melt, liofilizat doustny, 120 mcg oraz Minirin Melt, liofilizat doustny, 240 mcg.


Dokument składa się z analizy wpływu na budżet, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienia aspektów etycznych i społecznych.


METODYKA

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych refundacyjnych dla leku Minirin Melt[®] dostępnych na stronie Narodowego Funduszu Zdrowia oraz na podstawie danych epidemiologicznych.

W analizie wpływu na budżet rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której desmopresyna jest refundowana z budżetu płatnika publicznego w rozpatrywanej populacji chorych jedynie po udokumentowaniu nieskuteczności 3-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której desmopresyna jest refundowana z budżetu płatnika publicznego w rozpatrywanej populacji chorych po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: kosztu leków i ich zużycia w porównywanych scenariuszach.

Ceny poszczególnych prezentacji leku zaczerpnięto z aktualnego *Wykazu leków refundowanych*. 



[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wydatki płatnika publicznego (i łączne wydatki płatnika publicznego i pacjentów) przedstawiono w związku z tym w dwóch wersjach [REDACTED]

[REDACTED]

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego (NFZ) i pacjenta) oraz z perspektywy płatnika publicznego. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy, rozpoczynający się w listopadzie 2017 r. Okres od listopada 2017 do października 2018 roku w dalszej części opracowania określano jako 1 rok refundacji, okres od listopada 2018 do października 2019 roku w dalszej części opracowania określano jako 2 rok refundacji.

WYNIKI

Populacja docelowa chorych z PIMN nie zmieni się w związku z wydaniem decyzji refundacyjnej w zakresie zmiany brzmienia wskazania dotyczącego czasu postępowania wspomagającego i motywującego z 3 miesięcy na 1 miesiąc przed rozpoczęciem stosowania desmopresyny. W związku z wydaniem decyzji nastąpi jednak przesunięcie w czasie momentu rozpoczęcia przez chorych terapii (decyzja refundacyjna oznacza w praktyce, że chory będzie mógł przystąpić do leczenia po odbyciu jedno-, a nie jak dotąd trzy-miesięcznej nieskutecznej terapii wspomagającej i motywującej). W związku z powyższym przesunięciem czasowym, liczebność populacji zakwalifikowanej do leczenia w horyzoncie analizy będzie się różniła pomiędzy scenariuszem istniejącym i nowym.

W sytuacji braku wydania decyzji refundacyjnej szacunkowa liczebność populacji objętej leczeniem w horyzoncie czasowym analizy wyniesie [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Wzrost kwalifikacji do terapii nastąpi więc jedynie w pierwszym roku decyzji refundacyjnej, w drugim liczba kwalifikacji do terapii się ustabilizuje. Podkreślić również należy, że wzrost w pierwszym rok jest jedynie pozorny i wynika z możliwości szybszego rozpoczęcia terapii tych samych chorych (następuje przesunięcie w czasie momentu rozpoczęcia terapii).

Wydatki inkrementalne

Realizacja scenariusza nowego w porównaniu do sytuacji obecnej spowoduje nieznaczne zwiększenie wydatków w perspektywie płatnika publicznego, które wynika jedynie z przyspieszenia możliwości zastosowania terapii u chorego (decyzja refundacyjna nie wpływa na koszt terapii, ani na zwiększenie wielkości populacji docelowej chorych).

W wyniku podjęcia decyzji w zakresie zmiany brzmienia wskazania refundacyjnego dla wnioskowanej technologii medycznej łączne wydatki płatnika publicznego w populacji docelowej [REDACTED]

W wyniku podjęcia decyzji w zakresie zmiany brzmienia wskazania refundacyjnego dla wnioskowanej technologii łączne wydatki płatnika publicznego i pacjenta w populacji docelowej [REDACTED]

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce podjęcia pozytywnej decyzji w sprawie zmiany brzmienia wskazania dotyczącego czasu postępowania wspomagającego i motywującego z 3 miesięcy na 1 miesiąc przed rozpoczęciem stosowania leku Minirin Melt® (desmopresyna) stosowanego w leczeniu pierwotnego, izolowanego moczenia nocnego u dzieci powyżej 6. roku życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu.

Występowanie, a zwłaszcza utrzymywanie się moczenia nocnego, ma ogromne znaczenie dla przebiegu rozwoju psychofizycznego i społecznego dziecka. Może ono prowadzić do zakłócenia:

- ⊗ równowagi emocjonalnej dziecka;
- ⊗ rozwoju jego osobowości;
- ⊗ budowania prawidłowych relacji z innymi;
- ⊗ możliwości efektywnego uczenia się.

Im dziecko jest starsze, tym wyższe prawdopodobieństwo, że dojdzie do wystąpienia wtórnych zaburzeń emocjonalnych spowodowanych utrzymującym się moczeniem. U chorych dzieci zaobserwowano nadmierną nerwowość, trudności z koncentracją, niższą samoocenę i gorszy kontakt z rówieśnikami. Jest udowodnione, że u dziecka z PIMN, zaburzenia emocjonalne są efektem utrzymującego się moczenia, a nie jego przyczyną. Z tego powodu szybki dostęp do skutecznego leczenia odgrywa kluczową rolę w powodzeniu terapii.

Minirin Melt® jest lekiem o udowodnionej skuteczności klinicznej i bardzo dobrym profilu bezpieczeństwa. W konsekwencji podjęcia decyzji o zmianie czasu trwania terapii wspomagającej i motywującej chorzy uzyskają szybszy niż obecnie dostęp do terapii. Minimalny czas oczekiwania na terapię desmopresyną zostanie skrócony z 3 do 1 miesiąca. Tym samym należy oczekiwać poprawy stanu zdrowotnego chorych oraz wzrostu ich zadowolenia ze świadczonej opieki medycznej.

Zgodnie z przedstawionymi w analizie szacunkami realizacja scenariusza nowego w porównaniu do sytuacji obecnej spowoduje nieznaczne zwiększenie wydatków płatnika w pierwszym roku obowiązywania decyzji refundacyjnej, które wynika jedynie z przyspieszenia możliwości zastosowania terapii u chorego. Decyzja refundacyjna nie wpływa na koszt terapii, ani na zwiększenie populacji docelowej chorych. Wydatki płatnika stabilizują się już w drugim roku obowiązywania decyzji (brak istotnych wydatków inkrementalnych płatnika).



Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku Minirin Melt® zgodnie z wnioskowanym wskazaniem refundacyjnym przyczyni się do poprawy sytuacji chorych z pierwotnym, izolowanym moczeniem nocnym w Polsce przy nieznacznej zmianie nakładów finansowych

– [REDACTED]

[REDACTED]

1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji w sprawie zmiany brzmienia wskazania dotyczącego czasu postępowania wspomagającego i motywującego z 3 miesięcy na 1 miesiąc przed rozpoczęciem stosowania leku Minirin Melt[®] (desmopresyna) stosowanego w leczeniu pierwotnego, izolowanego moczenia nocnego u dzieci powyżej 6. roku życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu. Analiza dotyczy 3 prezentacji leku: Minirin Melt, liofilizat doustny, 60 mcg; Minirin Melt, liofilizat doustny, 120 mcg oraz Minirin Melt, liofilizat doustny, 240 mcg.

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Minirin Melt[®] w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel 2007, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń.

2. Analiza wpływu na budżet

2.1. Metodyka analizy

1. Analizę wykonano w oparciu o 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 (Rozporządzenie *MZ w sprawie minimalnych wymagań*), Wytyczne Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (*Wytyczne AOTMiT*) oraz *Ustawę z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (Dz. U. Nr 122, poz. 696, dalej zwaną *Ustawą o refundacji*) [1, 11, 14].
2. Zdefiniowano populację docelową dla technologii wnioskowanej na podstawie odnalezionych źródeł danych: *dane refundacyjne NFZ, Baka-Ostrowska 2011, Krysiak 2014, Shapiro 2012, Miler 2013, ChPL Minirin Melt[®]* [2, 8, 12, 3, 8, 9].

3. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego, począwszy od listopada 2017 roku.
4. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
5. Oszacowano koszty terapii wnioskowanym lekiem.
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania leku Minirin Melt® we wnioskowanym wskazaniu ze środków publicznych.
7. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu leku Minirin Melt® we wnioskowanym wskazaniu ze środków publicznych.
8. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera oznacza to dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji refundacyjnej.
9. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).

2.2. Horyzont czasowy

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań*, horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych [11].

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od listopada 2017 do października 2019. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest

przeprowadzone modelowanie w analizie wpływu na budżet płatnika, które wskazuje na stabilizację wydatków już w drugim roku analizy.

2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnym wymagań*, dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy wpływu na budżet, analiza została przeprowadzona w dwóch wariantach:

- ⊗ z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny¹)
- ⊗ oraz dodatkowo z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta) [11].

2.4. Scenariusze porównywane


W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz scenariusz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której desmopresyna jest refundowana z budżetu płatnika publicznego w rozpatrywanej populacji chorych jedynie po udokumentowaniu nieskuteczności 3-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której desmopresyna jest refundowana z budżetu płatnika publicznego w rozpatrywanej populacji chorych po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

W analizie uwzględniono finansowanie Minirin Melt® w istniejącej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 7.2.).

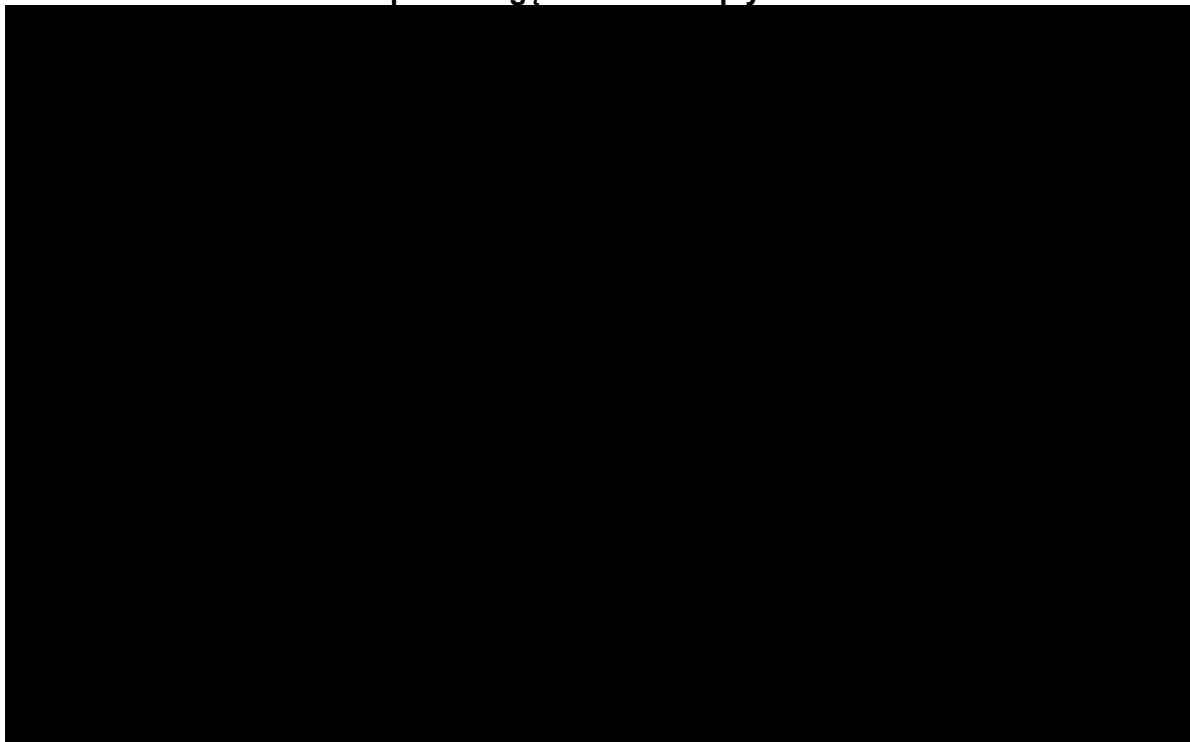
Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata, wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.

¹ Zgodnie z art. 14 *Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych* jest nim płatnik publiczny, czyli Narodowy Fundusz Zdrowia [13]



Analizowane scenariusze (istniejący, nowy),  oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

Rysunek 1.
Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet



2.5. Populacja

2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana [1].

Zgodnie z *Charakterystyką Produktu Leczniczego Minirin Melt®* (ChPL), desmopresyna wskazana jest w leczeniu [3]:

- ⊗ moczówki prostej ośrodkowej;
- ⊗ pierwotnego izolowanego moczenia nocnego u pacjentów powyżej 6 lat z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu;
- ⊗ objawowym nokturii u dorosłych, związanej z nocnym wielomoczem.

Ponadto zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* [10] desmopresyna może być stosowana w leczeniu:

- ⊗ moczówki prostej przysadkowej;
- ⊗ pierwotnego izolowanego moczenia nocnego u pacjentów powyżej 6 lat z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 3-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego;
- ⊗ pierwotnego izolowanego moczenia nocnego u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 3-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

Wyżej wymienione populacje chorych zgodne z ChPL oraz *Wykazem leków refundowanych* stanowią łączną populację badaną, w której poszczególne prezentacje Minirin Melt® mogą zostać zastosowane.

Wielkość populacji chorych kwalifikującą się do leczenia z powodu moczówki prostej określono przy pomocy publikacji *Krysiak 2014* [7] i *Shapiro 2012* [12]. Zgodnie z danymi przedstawionymi w *Krysiak 2014* moczówkę prostą stwierdza się u 1 na 25 000 osób. Zgodnie z danymi przedstawionymi w *Shapiro 2012* moczówka dotyka 3 na 100 000 osób. Średnie rozpowszechnienie przyjęte na podstawie obydwu powyższych publikacji określono na 3,5 na 100 000 osób. Uwzględniając liczebność populacji Polski na poziomie 38 426 809 osób (dane demograficzne GUS [5]) można przyjąć, że w Polsce żyje 1 345 chorych z moczówką prostą.

Liczebność populacji chorych na pierwotne izolowane moczenie nocne (PIMN) z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu w wieku powyżej 5 roku życia określono na podstawie danych przedstawionych w publikacji *Miler 2013* [8]. W publikacji tej określono częstość występowania moczenia nocnego w poszczególnych grupach wiekowych chorych. W publikacji wskazano również, że monosymptomatyczne moczenie nocne odpowiada za 80% przypadków moczenia nocnego. Liczebność poszczególnych grup chorych określono na podstawie danych demograficznych GUS [5]. Zebrane dane oraz wykonane w oparciu o te dane kalkulacje przedstawiono w tabelach poniżej.

Tabela 1.
Szacowana liczebność populacji chorych z moczeniem nocnym

wiek	Zakres częstości występowania moczenia nocnego	przyjęta wartość częstości	populacja GUS	Populacja chorych z moczeniem nocnym
5 lat	15-20%	0,18	405 535	70 969
6-7 lat	11%	0,11	856 165	94 178
8-10 lat	5-7%	0,06	1 186 604	71 196
11-17 lat	2-3%	0,03	2 564 356	64 109
dorośli	1-3%	0,02	31 532 051	630 641

Tabela 2.
Szacowana liczebność łącznej populacji chorych z PIMN

Populacja	Liczebność
populacja chorych z moczeniem nocnym powyżej 5 r.ż.	931 093
chorych z PIMN w Polsce powyżej 5 r.ż.	744 874

Liczebność populacji chorych na nokturię, związaną z nocnym wielomoczem określono na podstawie publikacji *Wolski 2007* [15]. Zgodnie z danymi przedstawionymi w wyżej wymienionej publikacji odsetek dorosłych osób (niezależnie od wieku), którzy skarżą się, iż nokturia jest przyczyną przerywania snu wynosi od 9% do 16%. W analizie uwzględniono średnią ze wskazanego powyżej zakresu (13%). Uwzględniając liczebność dorosłych osób w populacji Polski na poziomie 31 532 051 osób (dane demograficzne GUS [5] – osoby w wieku 18 lat i powyżej) można przyjąć, że w Polsce żyje 3 941 506 chorych z nokturią.

Tabela 3.
Szacowana liczebność łącznej populacji dorosłych chorych z nokturią, związaną z nocnym wielomoczem

Parametr	Liczebność
Populacja dorosłych w Polsce	31 532 051
Uwzględniony odsetek chorych z nokturią	13%
Populacja chorych z nokturią	3 941 506

Całkowitą liczbę chorych (suma liczby chorych z powyższych wskazań), u których technologia może być zastosowana przedstawiono w poniższej tabeli. Oszacowania te mają jednak charakter wyłącznie informacyjny (są spełnieniem minimalnych wymagań zawartych

w *Rozporządzeniu Ministra Zdrowia*) i nie były brane pod uwagę w obliczeniach analizy wpływu na budżet.

Tabela 4.
Oszacowanie populacji, w której technologia wnioskowana może być zastosowana

Populacja	Liczebność
Moczówka prosta	1 345
PIMN powyżej 5 r.ż.	744 874
Nokturia	3 941 506
Łącznie	4 687 726

2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Wnioskowanym wskazaniem dla leku Minirin Melt[®] jest leczenie pierwotnego izolowanego moczenia nocnego u pacjentów powyżej 6 lat z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

Z uwagi na fakt, że lek Minirin Melt[®] jest obecnie finansowany w analogicznym do wnioskowanego wskazaniu (po udokumentowaniu nieskuteczności 3-miesięcznego postępowania) przyjęto, że najbardziej wiarygodny szacunek populacji docelowej, w której lek będzie rzeczywiście stosowany po podjęciu decyzji refundacyjnej, możliwy jest do wykonania w oparciu o dane refundacyjne Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) dla obecnego wskazania. Przyjęto, że skrócenie okresu postępowania wspomagającego nie wpłynie na zmianę liczebności populacji docelowej, a jedynie na przesunięcie w czasie momentu rozpoczęcia przez chorych terapii.

Wykorzystanie danych refundacyjnych zamiast danych epidemiologicznych wydaje się być zasadne z uwagi na fakt, że potencjalna liczebność populacji chorych oszacowana w oparciu o dane epidemiologiczne (Tabela 2.) na poziomie ponad 700 tys. osób znacząco przewyższa maksymalną liczebność populacji docelowej, jaką można policzyć w oparciu o dane refundacyjne na poziomie 5 647 (liczba rocznych osobo-terapii kalkulowana przy założeniu, że desmopresyna refundowana jest stuprocentowo w populacji chorych z pierwotnym izolowanym moczeniem nocnym). Wykorzystanie danych epidemiologicznych na potrzeby kalkulacji realnych wydatków płatnika nie jest w tym przypadku uzasadnione.

W celu oszacowania populacji docelowej wykorzystano dane refundacyjne za okres styczeń – grudzień 2016 r. [9]. Obliczono, że 16,14% spośród 38 160 opakowań Minirin Melt[®] 60

mcg, 24,83% spośród 45 296 opakowań Minirin Melt® 120 mcg oraz 65,35% spośród 2 179 opakowań Minirin Melt® 240 mcg zostało zrefundowanych w populacji chorych z pierwotnym izolowanym moczeniem nocnym (szczegóły kalkulacji opierające się na różnych kosztach płatnika publicznego z tytułu refundacji Minirin Melt® dla wskazań moczówka prosta i izolowane moczenie nocne przedstawiono szczegółowo w dołączonym do raportu kalkulatorze). Przyjmując dobową dawkę desmopresyny na poziomie 120 mcg (ChPL oraz wartość przyjmowana w kalkulacji DDD dla grupy limitowej 78.2, Hormony przysadki i podwzgórza – doustne postacie farmaceutyczne desmopresyny w *Wykazie leków refundowanych*) ustalono, że rocznie przy pomocy leku realizowanych jest 1 412 rocznych pacjento-terapii we wnioskowanym wskazaniu. Przyjmując na podstawie publikacji *Baka-Ostrowska 2011* [2], że czas trwania standardowej terapii wynosi 3 miesiące roczną liczebność populacji docelowej chorych określono na poziomie XXXXXXXXXX

2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana

Obecnie lek Minirin Melt® jest refundowany i stosowany w leczeniu:

- ⊗ moczówki prostej przysadkowej;
- ⊗ pierwotnego izolowanego moczenia nocnego u pacjentów powyżej 6 lat z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 3-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego;
- ⊗ pierwotnego izolowanego moczenia nocnego u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 3-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

Populacja chorych na PIMN jest tożsama z populacją docelową, którą określono w rozdziale (2.5.2.). W tym wskazaniu z terapii wnioskowaną technologią korzysta około 5 647 chorych.

Populację chorych na moczówkę prostą przysadkową określono, przy pomocy danych refundacyjnych NFZ [9]. Określono, że na to wskazanie przeznaczone jest około 75% refundowanej desmopresyny (szczegółowe kalkulacje w dołączonym kalkulatorze). Następnie w oparciu o ChPL leku Minirin Melt® [3] określono przeciętną dawkę leku zużywaną dziennie przez jednego chorego (dawka podtrzymująca w zakresie 180-360 mcg) na poziomie 270 mcg. W ten sposób ustalono, że przeciętnie w ciągu roku z powodu moczówki prostej leczy się 1 883 chorych (refundowanych jest 1 883 rocznych pacjento-terapii).

Podsumowując powyższe kalkulacje, prawdopodobnie około 7 531 chorych rocznie leczonych jest przy pomocy leku Minirin Melt[®].

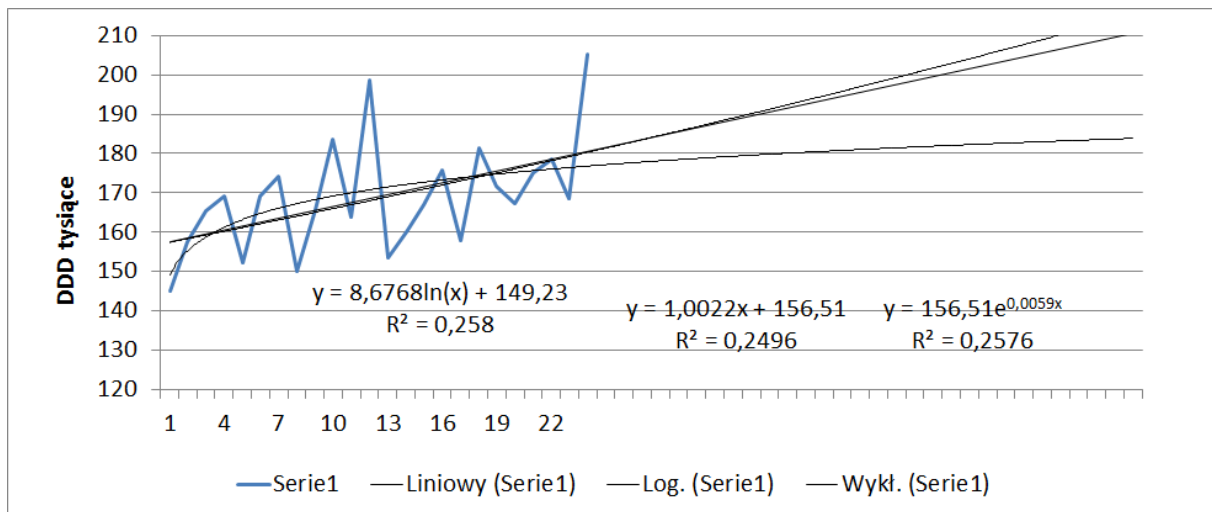
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją

W analizie przyjęto następujące założenia:

- populacja chorych PIMN nie zmieni się w związku z wydaniem decyzji refundacyjnej (skrócenie z 3 do 1 miesiąca nieskutecznej terapii wspomagającej i motywującej),
- w związku z wydaniem decyzji nastąpi jednak przesunięcie w czasie momentu rozpoczęcia przez chorych terapii. W związku z powyższym, liczebność populacji podejmującej leczenie w horyzoncie analizy będzie się różniła pomiędzy scenariuszem istniejącym i nowym,
- liczebność populacji chorych rozpoczynających leczenie w scenariuszu nowym zostanie skalkulowana w oparciu o liczebność populacji chorych w scenariuszu istniejącym (przy uwzględnieniu stosownego przesunięcia momentu rozpoczęcia terapii),
- liczebność populacji w scenariuszu istniejącym określono przy pomocy ekstrapolacji danych refundacyjnych NFZ z okresu styczeń 2015 – grudzień 2016 [9].

Szacunki rozpoczęto od ekstrapolacji łącznych danych refundacyjnych NFZ. Wykonaną ekstrapolację zaprezentowano na wykresie poniżej.

Rysunek 2.
Ekstrapolacja danych refundacyjnych NFZ



Na powyższym wykresie kolorem niebieskim oznaczono rzeczywiste wielkości refundacyjne wyrażone w tysiącach DDD (jako DDD przyjęto 120 mcg desmopresyny). Następnie wykonano ekstrapolacje przy pomocy 3 linii trendu. Ostatecznie w oszacowaniu populacji przyjęto, że dopasowanie liniowe będzie odpowiadało wariantowi prawdopodobnemu, dopasowanie logarytmiczne minimalnemu oraz wykładnicze maksymalnemu. Wybór dopasowani do poszczególnych wariantów podyktowany jest przebiegiem krzywych.

W kolejnym kroku określono liczbę zużywanych DDD leku we wskazaniu PIMN w poszczególnych miesiącach horyzontu czasowego analizy. Oszacowania dla scenariusza istniejącego i nowego przedstawiono w załączniku (rozdział 7.3.).

[Redakcja]

Tabela 5.

[Redakcja]

W tabeli poniżej przedstawiono orientacyjną liczebność populacji docelowej chorych, która podejmie leczenie desmopresyną w horyzoncie analizy.

Tabela 6.
Liczebność populacji docelowej chorych, która podejmie leczenie desmopresyną

wariant	1 rok	2 rok

Ponieważ wyniki analizy opierają się bezpośrednio na danych refundacyjnych przedstawione w powyższej tabeli wartości mają jedynie charakter informacyjny. Dane zawarte w tabeli pokazują wyraźnie wyższą liczebność populacji chorych w pierwszym roku analizy, który wynika ze zmiany momentu rozpoczęcia terapii. W drugim roku analizy liczebność populacji stabilizuje się na poziomie odpowiadającym liczebności populacji sprzed wydania decyzji refundacyjnej (na obecnych zasadach refundacyjnych). Fakt ten jednoznacznie potwierdza, że decyzja refundacyjna nie będzie wiązała się z dodatkowymi nakładami na rozpatrywaną jednostkę chorobową, a jedynie z przesunięciem nakładów w czasie.

2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji desmopresyny we wnioskowanym wskazaniu lek ten będzie stosowany analogicznie w stosunku do sytuacji przedstawionej dla scenariusza istniejącego (rozdział 7.3.).

2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach

W tabeli poniżej przedstawiono wartości oszacowań populacyjnych wykonanych w niniejszej analizie wpływu na system ochrony zdrowia (opisanych w rozdziałach 2.5.1. – 2.5.5.).

Tabela 7.
Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań

Populacja	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	Podstawa prawna
Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	4 678 726 chorych	art. 1 ust. 1pkt 1 lit. a
Populacja docelowa, wskazana we wniosku	██████████	art. 1 ust. 1pkt 1 lit. b
Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	7 531 chorych	art. 1 ust. 1pkt 1 lit. c
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	Tabela 6.; Tabela 19.	art. 1 ust. 1pkt 2
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	Tabela 6., Tabela 18.	art. 1 ust. 1pkt 4

2.6. Koszt leczenia

Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: kosztu leków i ich zużycia w porównywanych scenariuszach. Pozostałe koszty uznano jako nieróżniące w zawiązku z faktem, że analiza dotyczy jedynie zmiany wskazania dla Minirin Melt®.

2.6.1. Koszt desmopresyny

2.6.1.1. Dawkowanie desmopresyny

Na podstawie *ChPL* przyjęto, że standardowa dawka desmopresyny we wnioskowanym wskazaniu wynosi 120 mcg na dobę. Założenie to jest odzwierciedlone w strukturze refundowanych opakowań w rozpatrywanym wskazaniu (udział opakowania Minirin Melet® wyrażony w mcg substancji przekracza 65%) oraz jest zgodne z konstrukcją grupy limitowej 78.2, *Hormony przysadki i podwzgórza – doustne postacie farmaceutyczne desmopresyny*, gdzie również przyjęto dawkę 120 mcg jako DDD. Założenie jest techniczne i nie ma decydującego wpływu na wyniki analizy.

2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji Minirin Melt®

Wniosek refundacyjny dotyczy zmiany wskazania w jakim refundowana jest obecnie desmopresyna. W analizie, zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek dostępny będzie w aptece na receptę i wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością w wysokości 30% jej limitu finansowania). Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 7.2.

Cenę zbytu netto desmopresyny określono na podstawie *Obwieszczenia MZ w sprawie Wykazu leków refundowanych* [14].

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W tabeli poniżej przedstawiono stosowania poszczególnych prezentacji leku w przeliczeniu na dobową dawkę (DDD).

Tabela 9.
Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN)

Na podstawie dane refundacyjne NFZ [9] określono udział poszczególnych prezentacji Minirin Melt® w rynku. Przedstawiono je w tabeli poniżej.

Tabela 10.
Udział poszczególnych prezentacji Minirin Melt® w rynku

Prezentacje wnioskowane	Udział w rynku
Minirin Melt 60 mcg	
Minirin Melt 120 mcg	
Minirin Melt 240 mcg	

2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 11.
Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet

Parametr	Wartość	Źródło
Przeciętny czas trwania terapii desmopresyną	120 mcg	ChPL [3]
Ceny preparatów desmopresyny	Tabela 8.	Wykaz leków refundowanych [10]

Parametr	Wartość	Źródło
█	█	<i>Dane dostarczone przez Zamawiającego [4]</i>
Zużycie DDD desmopresyny w scenariuszu istniejącym	Tabela 18.	Oszacowania własne w oparciu o dane refundacyjne NFZ [9]
Zużycie DDD desmopresyny w scenariuszu nowym	Tabela 19.	Oszacowania własne w oparciu o dane refundacyjne NFZ [9]
Udziały w rynku poszczególnych prezentacji desmopresyny	Tabela 10.	Oszacowania własne w oparciu o dane refundacyjne NFZ [9]

2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy


2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano biorąc pod uwagę liczbę zrefundowanych DDD leku w 2016 roku (dane za okres styczeń – grudzień 2016) [45]. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych prezentacji leku oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą █

2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego i wspólnej. █

Realizacja scenariusza nowego w porównaniu do sytuacji obecnej spowoduje nieznaczne zwiększenie wydatków w perspektywie płatnika publicznego, które wynika z jedynie z przyspieszenia możliwości zastosowania terapii u chorego (decyzja refundacyjna nie wpływa na koszt terapii ani na jej liczebność).


W wyniku podjęcia decyzji w zakresie zmiany brzmienia wskazania refundacyjnego dla wnioskowanej technologii łączne wydatki płatnika publicznego w populacji docelowej 









W wyniku podjęcia decyzji w zakresie zmiany brzmienia wskazania refundacyjnego dla wnioskowanej technologii łączne wydatki płatnika publicznego i pacjenta w populacji docelowej 









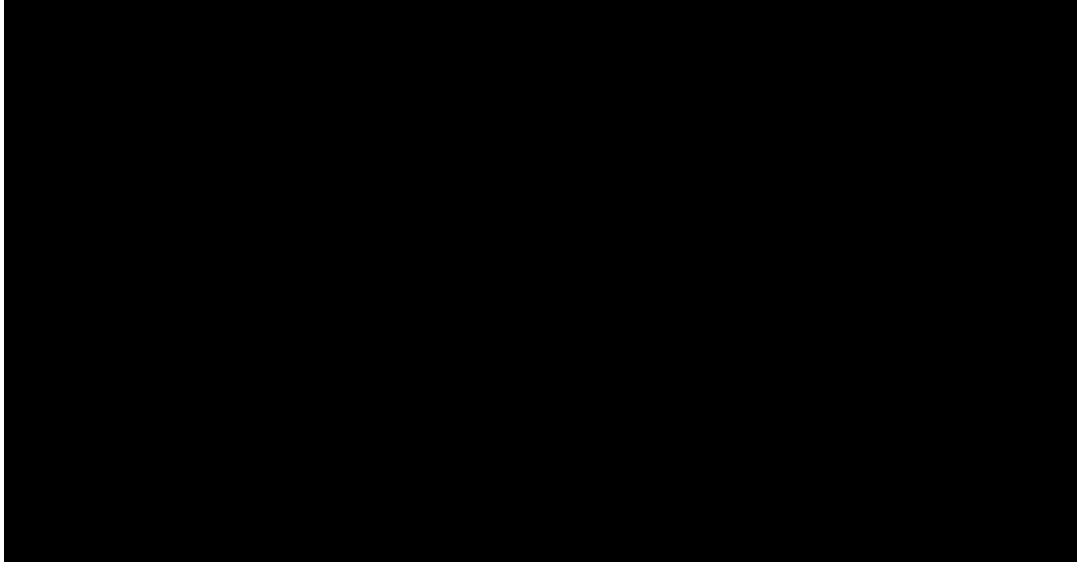




Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono również graficznie na poniższym wykresie.

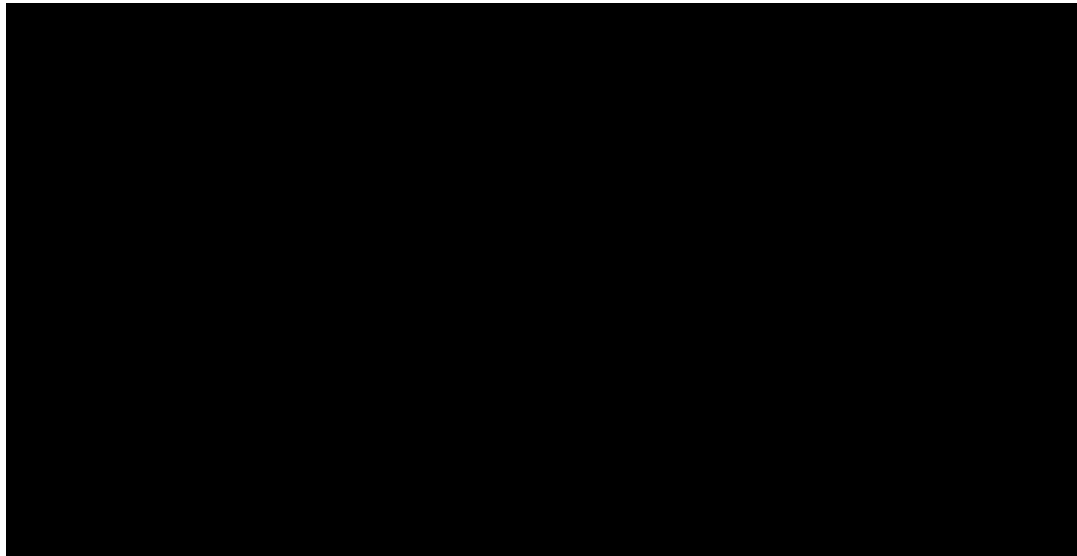
Rysunek 3.

Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego



Rysunek 4.

Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej,



Z uwagi na fakt, że główne parametry analizy (dawka leku, czas trwania terapii) są bezpośrednio powiązane ze sposobem oszacowania liczebności populacji, testowanie zmienności tych parametrów nie ma sensu (np. wydłużenie czasu trwania terapii powoduje zmniejszenie populacji chorych) i prowadzi do uzyskania tych samych wyników analizy wpływu na budżet. Z tej przyczyny nie przedstawiono analizy wrażliwości dla oszacowania analizy wpływu na budżet (oprócz wariantów minimalnego i maksymalnego analizy).

3. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca zmiany brzmienia wskazania dotyczącego czasu postępowania wspomagającego i motywującego z 3 miesięcy na 1 miesiąc przed rozpoczęciem stosowania leku Minirin Melt® (desmopresyna) stosowanego w leczeniu pierwotnego, izolowanego moczenia nocnego u dzieci powyżej 6. roku życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

W związku z powyższym, w wyniku zmiany finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Zmiana warunków refundacji technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

4. Aspekty etyczne i społeczne

Występowanie, a zwłaszcza utrzymywanie się moczenia nocnego, ma ogromne znaczenie dla przebiegu rozwoju psychofizycznego i społecznego dziecka. Może ono prowadzić do zakłócenia:

- ⊗ równowagi emocjonalnej dziecka;
- ⊗ rozwoju jego osobowości;
- ⊗ budowania prawidłowych relacji z innymi;
- ⊗ możliwości efektywnego uczenia się.

Im dziecko jest starsze, tym wyższe prawdopodobieństwo, że dojdzie do wystąpienia wtórnych zaburzeń emocjonalnych spowodowanych utrzymującym się moczeniem. U chorych dzieci zaobserwowano nadmierną nerwowość, trudności z koncentracją, niższą samoocenę i gorszy kontakt z rówieśnikami. Jest udowodnione, że u dziecka z PIMN, zaburzenia emocjonalne są efektem utrzymującego się moczenia, a nie jego przyczyną. Z tego powodu szybki dostęp do skutecznego leczenia odgrywa kluczową rolę w powodzeniu terapii.

Minirin Melt® jest lekiem o udowodnionej skuteczności klinicznej i bardzo dobrym profilu bezpieczeństwa [6]. W konsekwencji podjęcia decyzji o zmianie czasu trwania nieskutecznej terapii wspomagającej i motywującej chorzy uzyskają szybszy niż obecnie dostęp do leczenia. Minimalny czas oczekiwania na terapię desmopresyną zostanie skrócony z 3 do 1 miesiąca.

Tym samym należy oczekiwać poprawy stanu zdrowotnego chorych oraz wzrostu ich zadowolenia ze świadczonej opieki medycznej. Szybkie rozpoczęcie skutecznej terapii jest szczególnie ważne w przypadku dolegliwości wstydlivej i powodującej poważne problemy emocjonalne, do jakich należy PIMN.

Należy zaznaczyć, że obecny 3 miesięczny okres czasu nieskutecznego postępowania wspomagającego i motywującego poprzedzający farmakoterapię nie znajduje uzasadnienia w wytycznych międzynarodowych [6].

Pozytywna decyzja dotycząca zmiany warunków finansowania technologii wnioskowanej nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia.

Poniższa tabela (Tabela 16.) przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

Tabela 16.
Aspekty społeczne i etyczne

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	Żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych
Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia.	Nie
Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:	
wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
grozić niezakoceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
wywoływać ponadprzeciętny lęk;	Nie
powodować dylematy moralne;	Nie
stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.	Nie
Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:	
nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:	
konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie

Warunek	Wartość
potrzeba zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych;	Nie
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

5. Założenia i ograniczenia

Przyjęto, że skrócenie okresu postępowania wspomagającego i motywującego warunkujące rozpoczęcie terapii refundowaną desmopresyną nie wpłynie na zmianę liczebności populacji docelowej (analitycy nie dostrzegli jakichkolwiek podstaw naukowych do innego wnioskowania), a jedynie na przesunięcie w czasie momentu rozpoczęcia przez chorych terapii. Konserwatywnie założono, że 100% chorych, którzy do tej pory przystępowali do leczenia po 3 miesiącach oczekiwania, teraz przystąpi po 1 miesiącu. W związku z powyższym wyniki inkrementalne analizy należy uznać za konserwatywne i bardzo bezpieczne.

Na podstawie publikacji *Baka-Ostrowska 2011* [2] oraz *ChPL Minirin Melt®* [45] przyjęto, że czas trwania standardowej terapii we wnioskowanym wskazaniu wynosi 3 miesiące. Jest to założenie techniczne potrzebne do zaimplementowania w modelu właściwego mechanizmu rozpoczynania i kończenia terapii desmopresyną i nie ma wpływu na wyniki analizy.

Ponadto na podstawie *ChPL* przyjęto, że standardowa dawka desmopresyny we wnioskowanym wskazaniu wynosi 120 mcg na dobę. Założenie to jest odzwierciedlone w strukturze refundowanych opakowań w rozpatrywanym wskazaniu (udział opakowania Minirin Melet® wyrażony w mcg substancji przekracza 65%) oraz jest zgodne z konstrukcją grupy limitowej 78.2, *Hormony przysadki i podwzgórza – doustne postacie farmaceutyczne desmopresyny*, gdzie również przyjęto dawkę 120 mcg jako DDD. Również to założenie jest techniczne i nie ma decydującego wpływu na wyniki analizy.

Obliczono, że 16,14% spośród 38 160 opakowań Minirin Melt® 60 mcg, 24,83% spośród 45 296 opakowań Minirin Melt® 120 mcg oraz 65,35% spośród 2 179 opakowań Minirin Melt® 240 mcg w okresie od stycznia do grudnia 2016 roku zostało zrefundowanych w populacji chorych z pierwotnym izolowanym moczeniem nocnym. Kalkulacja była możliwa z uwagi na różny poziomie odpłatności za lek dla wskazań moczówka prosta i izolowane moczenie nocne. Szczegóły kalkulacji przedstawiono w dołączonym do raportu kalkulatorze. Wartości

procentowe posłużyły do oszacowania populacji docelowej w oparciu o łączne dane refundacyjne NFZ dla desmopresyny.

Dodatkowo przyjęto, że przeciętny rok trwa dokładnie 365 dni.

6. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce podjęcia pozytywnej decyzji w sprawie zmiany brzmienia wskazania dotyczącego czasu postępowania wspomagającego i motywującego z 3 miesięcy na 1 miesiąc przed rozpoczęciem stosowania leku Minirin Melt® (desmopresyna) stosowanego w leczeniu pierwotnego, izolowanego moczzenia nocnego u dzieci powyżej 6. roku życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu.

Występowanie, a zwłaszcza utrzymywanie się moczzenia nocnego, ma ogromne znaczenie dla przebiegu rozwoju psychofizycznego i społecznego dziecka. Może ono prowadzić do zakłócenia:

- ⊗ równowagi emocjonalnej dziecka;
- ⊗ rozwoju jego osobowości;
- ⊗ budowania prawidłowych relacji z innymi;
- ⊗ możliwości efektywnego uczenia się.

Im dziecko jest starsze, tym wyższe prawdopodobieństwo, że dojdzie do wystąpienia wtórnych zaburzeń emocjonalnych spowodowanych utrzymującym się moczeniem. U chorych dzieci zaobserwowano nadmierną nerwowość, trudności z koncentracją, niższą samoocenę i gorszy kontakt z rówieśnikami. Jest udowodnione, że u dziecka z PIMN, zaburzenia emocjonalne są efektem utrzymującego się moczenia, a nie jego przyczyną. Z tego powodu szybki dostęp do skutecznego leczenia odgrywa kluczową rolę w powodzeniu terapii.

Minirin Melt® jest lekiem o udowodnionej skuteczności klinicznej i bardzo dobrym profilu bezpieczeństwa. W konsekwencji podjęcia decyzji o zmianie czasu trwania terapii wspomagającej i motywującej chorzy uzyskają szybszy niż obecnie dostęp do terapii. Minimalny czas oczekiwania na terapię desmopresyną zostanie skrócony z 3 do 1 miesiąca. Tym samym należy oczekiwać poprawy stanu zdrowotnego chorych oraz wzrostu ich zadowolenia ze świadczonej opieki medycznej.

Zgodnie z przedstawionymi w analizie szacunkami realizacja scenariusza nowego w porównaniu do sytuacji obecnej spowoduje nieznaczne zwiększenie wydatków płatnika w pierwszym roku obowiązywania decyzji refundacyjnej, które wynika jedynie z przyspieszenia możliwości zastosowania terapii u chorego. Decyzja refundacyjna nie wpływa na koszt terapii, ani na zwiększenie populacji docelowej chorych. Wydatki płatnika stabilizują się już w drugim roku obowiązywania decyzji (brak istotnych wydatków inkrementalnych płatnika).

[Redacted content]

7. Załączniki

7.1. Dane refundacyjne NFZ

Tabela 17.

Liczba zrefundowanych opakowań leku Minirin Melt® w latach 2015-2016 w ujęciu miesięcznym

Prezentacja leku	styczeń	luty	marzec	kwiecień	maj	czerwiec	lipiec	sierpień	wrzesień	październik	listopad	grudzień
Rok 2015												
Minirin Melt 60 mcg	2821	2865	3183	2960	3010	2988	3027	2741	3117	3278	3094	3438
Minirin Melt 120 mcg	3296	3657	3688	3981	3421	3843	4010	3365	3710	4219	3633	4553
Minirin Melt 240 mcg	65	80	116	89	74	150	144	131	130	133	140	177
Rok 2016												
Minirin Melt 60 mcg	2784	2923	3234	3315	2975	3218	3250	3052	3178	3148	3309	3774
Minirin Melt 120 mcg	3449	3566	3666	3901	3429	4089	3639	3734	3860	3929	3588	4446
Minirin Melt 240 mcg	140	155	140	148	171	177	230	158	192	224	190	254

*dane niedostępne w momencie zamknięcia prac nad raportem

7.2. Uzasadnienie braku utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej

Opierając się o art. 15 *Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* należy stwierdzić, że po zmianie decyzji refundacyjne lek Minirin Melt® będzie nadal refundowany w ramach istniejącej grupy limitowej: 78.2, Hormony przysadki i podwzgórza – doustne postacie farmaceutyczne desmopresyny (grupa, w której lek jest obecnie refundowany).

7.4. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

Tabela 20.






The table content is completely redacted with black bars, obscuring all data and headers.

7.5. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań*



Tabela 21.
Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań*

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
1.	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	n/d
1.1.	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK, rozdział 2.5.1.
1.2.	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK, rozdział 2.5.2.
1.3.	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK, rozdział 2.5.3.
1.4.	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.5.4.
2.	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
2.1.	aktualnych	TAK, rozdział 2.8.1.
2.2.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje	TAK, rozdział 2.8.1.
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej	TAK, rozdział 2.8.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
	refundację ceny wnioskowanej technologii	
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.
8.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7.
9.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 5.
9.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 5.
10.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
12.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d,
13.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach <ul style="list-style-type: none"> • z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka), • bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka 	TAK
13.1.	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> • w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej) • w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej) 	TAK, rozdział 7.2.

Tabela 20.   	39
Tabela 21. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	40

9. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet	14
Rysunek 2. Ekstrapolacja danych refundacyjnych NFZ	20
Rysunek 3. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego 	30
Rysunek 4. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej, 	30

10. Bibliografia

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, *Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. health technology assessment)*, Warszawa 2016
2. Baka Ostrowska, *Moczenie Nocne – problem dzieci i dorosłych*, Przegład Urologiczny 2011, <http://www.przeglad-urologiczny.pl/artukul.php?2586> (data dostępu: 15.02.2017 r.)
3. Charakterystyka Produktu Leczniczego Minirin Melt[®]
4. Dane dostarczone przez Zamawiającego
5. Główny Urząd Statystyczny, <http://demografia.stat.gov.pl/bazademografia/Tables.aspx> (data dostępu: 15.02.2017 r.)
6. [redacted], Minirin Melt[®] (desmopresyna) w leczeniu pierwotnego, izolowanego moczenia nocnego u dzieci – po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego - *Analiza problemu decyzyjnego*, MAHTA 2017
7. Krysiak R., Handzlik-Orlik G., Okopień B., *Moczówka prosta*, Przegład Lekarski 2014/71/12
8. Miler M., Polak-Jonkisz D., Fornalczyk K., i in., *Ocena jakości życia dzieci z moczeniem nocnym oraz ich rodzin*, Medycyna Ogólna i Nauki o Zdrowiu 2013, Tom 19, Nr 1, 36–40
9. Narodowy Fundusz Zdrowia, Wartość refundacji cen leków według kodów EAN (styczeń 2015 r. – grudzień 2016 r.)
10. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 23 lutego 2017 roku w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 marca 2017 roku
11. 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, http://www.mz.gov.pl/wwwfiles/ma_struktura/docs/rozp_urzcen_03042012.pdf

-
12. Shapiro M., Weiss J. P., *Diabetes Insipidus: A Review*, 2155-6156 J Diabetes Metab 2012
 13. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. Nr. 210, poz. 2135, z poz. zm.)
 14. 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.)
 15. Wolski Z., *Wpływ częstomoczności nocnej na sen i jakość życia polskich mężczyzn*, Urologia Polska 2007/60/1
-