



**Ocena konsekwencji finansowych dla płatnika
publicznego decyzji o finansowaniu stosowania
produktu leczniczego BCG-medac[®] w leczeniu dorosłych
pacjentów z nieinwazyjnym rakiem nabłonkowym
pęcherza moczowego**

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA



Wersja 1.0

Kraków, styczeń 2017



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

SPIS TREŚCI

INDEKS AKRONIMÓW WYKORZYSTYWANYCH W OPRACOWANIU	4
KLUCZOWE INFORMACJE Z ANALIZY	5
STRESZCZENIE	6
1. CEL ANALIZY WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA	10
2. METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	10
2.1. OCENIANA TECHNOLOGIA I SPOSÓB JEJ FINANSOWANIA	12
2.2. PERSPEKTYWA ANALIZY	14
2.3. HORYZONT CZASOWY ANALIZY	15
2.4. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE I PUNKTY KOŃCOWE ANALIZY	16
2.5. CHARAKTERYSTYKA I WIELKOŚĆ ANALIZOWANEJ POPULACJI	21
2.6. ANALIZA WPŁYWU NA SKUTKI ZDROWOTNE	30
2.7. KOSZTY UWZGLĘDNIONE W OPRACOWANIU	31
2.8. METODY ESTYMACJI WYNIKÓW ANALIZY W UJĘCIU POPULACYJNYM	32
2.9. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI I WYKAZ PARAMETRÓW ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	33
3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	38
3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO	38
3.2. WARIANT NAJBARDZIEJ PRAWDOPODOBNY	39
3.3. WARIANT MINIMALNY	41
3.4. WARIANT MAKSYMALNY	43
3.5. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI	45
4. ANALIZA ZUŻYTYCH ZASOBÓW	52
5. ANALIZA WPŁYWU NA EFEKTY ZDROWOTNE	52
6. ANALIZA WPŁYWU NA ORGANIZACJĘ UDZIELANIA ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH	52
7. ASPEKTY ETYCZNE I SPOŁECZNE	53
8. OGRANICZENIA ANALIZY	54
9. DYSKUSJA	55
10. WNIOSKI KOŃCOWE	56
11. OCENA ZAPOTRZEBOWANIA NA ANALIZĘ RACJONALIZACYJNĄ	57
12. BIBLIOGRAFIA	58
13. SPIS TABEL I RYSUNKÓW	63
14. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY	64

INDEKS AKRONIMÓW WYKORZYSTYWANYCH W OPRACOWANIU

Akronim / skrót	Interpretacja (pełna nazwa)
AOS	Ambulatoryjna Opieka Specjalistyczna
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
BCG	łac. <i>Bacillus Calmette–Guérin</i>
BIA	ang. <i>Budget Impact Analysis</i> ; Analiza wpływu na budżet
CI	ang. <i>Confidence Interval</i> ; Przedział ufności
HR	ang. <i>Hazard Ratio</i> ; Względny hazard
LCI	ang. <i>Lower Confidence Interval</i> ; Dolna granica przedziału ufności
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NMIBC	ang. <i>Non-Muscle Invasive Bladder Cancer</i> ; Nieinwazyjny rak nabłonkowy pęcherza moczowego (stadium Ta, T1, CIS)
Perspektywa płatnika publicznego	Perspektywa płatnika publicznego, tj. podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych ze środków publicznych (Narodowego Funduszu Zdrowia)
PICO	ang. <i>Population, Intervention, Comparison, Outcome</i> ; Populacja, interwencja, porównanie, wynik
UCI	ang. <i>Upper Confidence Interval</i> ; Górna granica przedziału ufności

KLUCZOWE INFORMACJE Z ANALIZY

- I. Przeprowadzona analiza pozwoliła ocenić wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce podjęcia decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego BCG-medac® w leczeniu nieinwazyjnego raka nabłonkowego pęcherza moczowego. Oceniono konsekwencje finansowe dla płatnika publicznego wpisania wnioskowanej technologii do części A1 Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.
- II. Przeprowadzono ocenę wielkości populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku o objęcie refundacją produktu leczniczego BCG-medac® przy uwzględnieniu opublikowanych informacji oraz opinii ekspertów. Ustalono, że w horyzoncie czasowym analizy, do immunoterapii BCG kwalifikuje się rocznie od [redacted] Aktualne wykorzystanie immunoterapii BCG określono na poziomie około [redacted] Ustalono, że udostępnienie immunoterapii pozostałym pacjentom oraz pacjentom stosującym ją obecnie w schemacie niezapewniającym najlepszych wyników zdrowotnych, spowoduje zmniejszenie ponownych kwalifikacji do immunoterapii BCG o [redacted] [redacted] w okresie 3 lat. Zakładając docelowo [redacted] wykorzystanie immunoterapii BCG po proponowanej zmianie sposobu finansowania określono, że dostępny w obrocie aptecznym produkt leczniczy BCG-medac® stosować będzie od [redacted] [redacted]
- III. W ramach analizy wpływu na budżet ustalono, że wydatki z budżetu płatnika publicznego przeznaczone na refundację produktu leczniczego BCG-medac® wyniosą: [redacted] [redacted] [redacted]
- IV. Wyniki analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie wnioskowanej technologii ze środków publicznych [redacted] [redacted] [redacted] [redacted] [redacted]
- V. Wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości potwierdziły przedstawione wnioski i założenia niniejszej analizy.
- VI. Wykazano, że za finansowaniem produktu leczniczego BCG-medac® ze środków publicznych przemawiają aspekty społeczne i etyczne, oparte przede wszystkim na podjęciu działania zapewniającego poprawę wyników zdrowotnych pacjentów z rakiem pęcherza w Polsce. W chwili obecnej śmiertelność z powodu raka pęcherza moczowego w Polsce jest jedną z najwyższych w Europie [101], [103].

STRESZCZENIE

CEL ANALIZY

Celem analizy była ocena wpływu na system ochrony zdrowia podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego BCG-medac® w leczeniu nieinwazyjnego raka nabłonkowego pęcherza moczowego w Polsce.

Oceniono konsekwencje finansowe dla płatnika publicznego wpisania wnioskowanej technologii do części A1 Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, umożliwiające nabywanie wnioskowanej technologii przez świadczeniobiorcę w aptece (zmiana sposobu finansowania ze środków publicznych wnioskowanej technologii z aktualnego, polegającego na zakupie przez świadczeniodawcę i rozliczeniu w ramach świadczenia grupy Z107 Ambulatoryjnej Opieki Specjalistycznej (AOS) „Wlew do pęcherza moczowego szczepionki BCG”, 5.31.00.0000107 [46]).

METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY

Zgodnie z wymogami Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) sprecyzowano kontekst niniejszego etapu oceny technologii medycznych. Schemat PICO (ang. *population, intervention, comparison, outcome*; populacja, interwencja, porównanie, wynik [osobno: efekt zdrowotny określony na podstawie badań klinicznych i punkt końcowy analizy wpływu na budżet]) [1] niniejszej analizy przedstawia się następująco:

- populację stanowili pacjenci z nieinwazyjnym rakiem nabłonkowym pęcherza moczowego (stadium Ta, T1, cis) kwalifikujący się do immunoterapii BCG (łac. *bacillus Calmette–Guérin*) zgodnie z zarejestrowanymi wskazaniami dla produktu BCG-medac® [66]; zgodnie z informacjami uzyskanymi od eksperta klinicznego [67] w opracowaniu rozpatrywano dwie grupy pacjentów składających się łącznie na populację docelową: grupę pośredniego ryzyka i grupę wysokiego ryzyka, zgodnie z klasyfikacją Europejskiego Stowarzyszenia Urologicznego [109] (P),
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego BCG-medac® w leczeniu nieinwazyjnego raka nabłonkowego pęcherza moczowego (I),
- do grona opcjonalnych technologii zakwalifikowano: stosowanie szczepionki BCG rozliczanej w ramach świadczenia AOS Z107, przy uwzględnieniu takiego samego schematu podawania jak wnioskowana technologia (większość pacjentów z grupy wysokiego ryzyka, część pacjentów z grupy pośredniego ryzyka), stosowanie sub-optymalnego schematu podawania szczepionki BCG rozliczanej w ramach świadczenia AOS Z107 (tylko indukcja/leczenie wprowadzające zamiast indukcji i leczenia podtrzymującego, zgodnie z rekomendacjami Europejskiego Stowarzyszenia Urologicznego [109]; dotyczy części pacjentów z grupy pośredniego i wysokiego ryzyka) oraz brak interwencji (część pacjentów z grupy pośredniego i wysokiego ryzyka) (C),
- w opracowaniu uwzględniono finansowe konsekwencje efektów klinicznych stosowania porównywanych interwencji w analizowanym wskazaniu (wyższa skuteczność wnioskowanej technologii względem sub-optymalnego schematu podawania BCG oraz braku interwencji); na podstawie wartości parametrów, założeń i wyników analizy opisanej w [114] określono średnie roczne zużycie zasobów medycznych lub roczne koszty, uwzględniające wszystkie efekty kliniczne zastosowania porównywanych interwencji; w opracowaniu wykorzystano następujące punkty końcowe badań klinicznych: przeżycie wolne od nawrotu, przeżycie wolne od progresji, dyskontynuacja leczenia; wykorzystano założenia modelu ekonomicznego opracowanego przez Kulkarni i wsp. [88] (O),
- wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet zaprezentowano w ujęciu wszystkich pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku pod postacią: wielkości populacji pacjentów, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 rozporządzenia [3], aktualnych wydatków na leczenie pacjentów z analizowanej populacji oraz prognozowanych wydatków na 3 lata realizacji

proponowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych, zgodnie z zapisami Rozporządzenia Ministra Zdrowia [3] (por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych) ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii (*status quo*, „scenariusz istniejący”; finansowanie ze środków publicznych immunoterapii BCG wyłącznie w ramach grupy Z107 AOS) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji realizacji proponowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz”; por. rozdział 2.4.).

W ramach scenariusza nowego założono, że: wszyscy pacjenci poddawani tylko obserwacji (brak interwencji) zostaną objęci pełną immunoterapią z wykorzystaniem wnioskowanej technologii; wszyscy pacjenci poddawani tylko leczeniu wprowadzającemu (indukcji) zostaną objęci pełną immunoterapią z wykorzystaniem wnioskowanej technologii. Dodatkowo przyjęto, że część pacjentów aktualnie stosująca optymalny schemat podawania BCG w ramach Z107 przekwalifikuje się na stosowanie wnioskowanej technologii dostępnej w obrocie aptecznym. Przyjęto, że tylko ośrodki aktualnie stosujące wnioskowaną technologię w ramach świadczenia Z107 [102] zmienią sposób nabywania szczepionki do podania dopęcherzowego.

Z uwagi na odmienne wymogi związane z podaniem produktu BCG-medac® (układ zamknięty niewymagający bardzo rygorystycznych warunków aseptycznych [112]) i Onko BCG® (drugiej najczęściej stosowanej szczepionki w Polsce [102]) założono, że pozostałe ośrodki nie zmienią formy rozliczenia immunoterapii BCG z NFZ (ośrodki przyzwyczajone do stosowania tańszej szczepionki pomimo konieczności zapewnienia większego rygoru sterylności).

Uwzględniono proponowaną cenę zbytu netto wnioskowanej technologii na poziomie [redacted]. Z uwagi na brak opcjonalnych technologii w Wykazie [37], w opracowaniu założono refundację wnioskowanej technologii w ramach nowej, osobnej grupy limitowej. Zgodnie z art. 14 ust. 1 pkt 1 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia, stosowana w leczeniu nowotworu złośliwego, będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie.

W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny wielkości populacji docelowej: wariant najbardziej prawdopodobny, wariant minimalny i wariant maksymalny. Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na wielkość populacji docelowej zarówno w ramach scenariusza istniejącego jak i scenariusza nowego.

Przeprowadzono ocenę liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy uwzględnieniu: informacji z Krajowego Rejestru Nowotworów w zakresie liczby zachorowań na raka pęcherza moczowego w Polsce [104], informacji przedstawionych w analizie weryfikacyjnej AOTMiT dla produktu leczniczego Hexvix® stosowanego wśród chorych z analogicznej populacji [90], wyników badań przeprowadzonych w warunkach polskich [102], [103], [107], [110], [111], informacji na temat charakteru leczenia szpitalnego w ramach Jednorodnych Grup Pacjentów [99] oraz opinii ekspertów klinicznych [67], [68].

Ustalono, że w ramach istniejącej praktyki klinicznej do immunoterapii z wykorzystaniem szczepionki BCG kwalifikuje się:

- [redacted]
- [redacted]
- [redacted]

Określono, że realizacja nowego scenariusza związanego ze stosowaniem wnioskowanej technologii w miejsce schematów o niższej skuteczności (brak interwencji, tylko leczenie wprowadzające BCG), przełoży się na redukcję liczby ponownych

kwalifikacji do immunoterapii BCG. W horyzoncie czasowym analizy zaobserwowano mniejszą liczbę ponownych kwalifikacji do immunoterapii BCG w przypadku nawrotu o [REDACTED]

Zakładając docelowo [REDACTED] wykorzystanie immunoterapii BCG po proponowanej zmianie sposobu finansowania określono, że dostępny w obrocie aptecznym produkt leczniczy BCG-medac® stosować będzie:

- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych [41]. Przy ocenie rocznych wydatków z budżetu płatnika publicznego, w ramach niniejszej analizy wpływu na budżet, wykorzystano założenia i wartości parametrów modelu decyzyjnego, szczegółowo opisane na etapie Analizy ekonomicznej [114].

Przeprowadzona analiza wpływu na system ochrony zdrowia, decyzji dotyczącej finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych, zgodna jest z Wytycznymi AOTMiT dla przeprowadzania ocen technologii lekowych [1] oraz spełnia minimalne wymagania Ministra Zdrowia przedstawione w rozporządzeniu [3].

WYNIKI I WNIOSKI

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block containing multiple paragraphs of blacked-out content]

1. CEL ANALIZY WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

Celem analizy była ocena wpływu na system ochrony zdrowia, podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego BCG-medac®, w leczeniu nieinwazyjnego raka nabłonkowego pęcherza moczowego w Polsce.

Oceniono konsekwencje finansowe dla płatnika publicznego wpisania wnioskowanej technologii do części A1 Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, umożliwiającego nabywanie wnioskowanej technologii przez świadczeniobiorcę w aptece (zmiana sposobu finansowania ze środków publicznych wnioskowanej technologii z aktualnego, polegającego na zakupie przez świadczeniodawcę i rozliczeniu w ramach świadczenia grupy Z107 Ambulatoryjnej Opieki Specjalistycznej (AOS) „*Wlew do pęcherza moczowego szczepionki BCG*”, 5.31.00.0000107 [46]).

2. METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

Przeprowadzona analiza pozwoli ocenić wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce podjęcia decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego BCG-medac® stosowanego w obrębie zarejestrowanych wskazań [66].

Zgodnie z wymogami Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) sprecyzowano kontekst niniejszego etapu oceny technologii medycznych. Schemat PICO (ang. *population, intervention, comparison, outcome*; populacja, interwencja, porównanie, wynik – osobno: efekt zdrowotny określony na podstawie badań klinicznych i punkt końcowy analizy wpływu na budżet) [1] niniejszej analizy przedstawia się następująco:

- populację stanowili pacjenci z nieinwazyjnym rakiem nabłonkowym pęcherza moczowego (stadium Ta, T1, cis) kwalifikujący się do immunoterapii BCG (łac. *bacillus Calmette-Guérin*) zgodnie z zarejestrowanymi wskazaniami dla produktu BCG-medac® [66]; zgodnie z informacjami uzyskanymi od eksperta klinicznego [67], w opracowaniu rozpatrywano dwie grupy pacjentów składających się łącznie na populację docelową: grupę pośredniego ryzyka i grupę wysokiego ryzyka, zgodnie z klasyfikacją Europejskiego Stowarzyszenia Urologicznego [109] (P),
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego BCG-medac® w leczeniu nieinwazyjnego raka nabłonkowego pęcherza moczowego (I),
- do grona opcjonalnych technologii zakwalifikowano:

- stosowanie szczepionki BCG rozliczanej w ramach świadczenia AOS Z107, przy uwzględnieniu takiego samego schematu podawania jak wnioskowana technologia (większość pacjentów z grupy wysokiego ryzyka, część pacjentów z grupy pośredniego ryzyka),
- stosowanie sub-optimalnego schematu podawania szczepionki BCG rozliczanej w ramach świadczenia AOS Z107 (tylko indukcja/leczenie wprowadzające zamiast indukcji i leczenia podtrzymującego, zgodnie z rekomendacjami Europejskiego Stowarzyszenia Urologicznego [109]; dotyczy części pacjentów z grupy pośredniego i wysokiego ryzyka) oraz
- brak interwencji (część pacjentów z grupy pośredniego i wysokiego ryzyka) (C),
- w opracowaniu uwzględniono finansowe konsekwencje efektów klinicznych stosowania porównywanych interwencji w analizowanym wskazaniu (wyższa skuteczność wnioskowanej technologii względem sub-optimalnego schematu podawania BCG w ramach Z107 oraz braku interwencji); na podstawie wartości parametrów, założeń i wyników analizy opisanej w [114], określono średnie roczne zużycie zasobów medycznych lub roczne koszty, uwzględniające wszystkie efekty kliniczne zastosowania porównywanych interwencji; w opracowaniu wykorzystano następujące punkty końcowe badań klinicznych: przeżycie wolne od nawrotu, przeżycie wolne od progresji, dyskontynuacja leczenia; wykorzystano założenia modelu ekonomicznego opracowanego przez Kulkarni i wsp. [88] (O),
- wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet zaprezentowano w ujęciu wszystkich pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku pod postacią: wielkości populacji pacjentów, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 rozporządzenia [3], aktualnych wydatków na leczenie pacjentów z analizowanej populacji oraz prognozowanych wydatków na 3 lata realizacji proponowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych, zgodnie z zapisami Rozporządzenia Ministra Zdrowia [3] (por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych) ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii (*status quo*, „scenariusz istniejący”; finansowanie ze środków publicznych immunoterapii BCG wyłącznie w ramach grupy Z107 AOS) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji realizacji proponowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz”; por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny zakresu wpływu finansowania ocenianego produktu na budżet płatnika publicznego i wielkości populacji docelowej: wariant najbardziej prawdopodobny, wariant minimalny i wariant maksymalny.

Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na wielkość populacji docelowej i zużycie zasobów medycznych zarówno w ramach scenariusza istniejącego jak i scenariusza nowego.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych przygotowanego przez Centrum HTA Sp. z o.o. OTM Sp. komandytowa [41]. Przy ocenie rocznych wydatków z budżetu płatnika publicznego, w ramach niniejszej analizy wpływu na budżet wykorzystano wartości parametrów, założenia i wyniki modelu decyzyjnego, szczegółowo opisanego na etapie Analizy ekonomicznej [114].

W niniejszej analizie wykorzystano ogólnie akceptowalne metody biostatystyczne i epidemiologiczne [1]-[29], [34], [35].

Przeprowadzona analiza wpływu na system ochrony zdrowia, decyzji dotyczącej finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych, zgodna jest z Wytycznymi AOTMiT dla przeprowadzania ocen technologii lekowych [1] oraz spełnia minimalne wymagania Ministra Zdrowia przedstawione w rozporządzeniu [3].

2.1. OCENIANA TECHNOLOGIA I SPOSÓB JEJ FINANSOWANIA

Firma medac GmbH Sp. z o. o. wnioskuje o objęcie refundacją produktu BCG-medac® w ramach części A1 Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, umożliwiającego nabywanie wnioskowanej technologii przez świadczeniobiorcę w aptece. Proponowany sposób obejmuje zmianę aktualnego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych (zakup szczepionki przez świadczeniodawcę i rozliczenie w ramach świadczenia grupy Z107 AOS „*Wlew do pęcherza moczowego szczepionki BCG*”, 5.31.00.0000107 [46]).

Wszystkie zarejestrowane wskazania do stosowania ocenianej technologii dotyczą leczenia dorosłych pacjentów z nieinwazyjnym rakiem nabłonkowym pęcherza moczowego (ang. *non-muscle invasive bladder cancer*, NMIBC) z grupy pośredniego lub wysokiego ryzyka [66], [67], [109].

Analiza aspektów ustawy o refundacji leków [30] dotycząca kwalifikacji do osobnej lub istniejącej grupy limitowej została zestawiona w tabeli poniżej.

Tabela 1. Ocena zasadności kwalifikacji BCG-medac® do nowej, osobnej grupy limitowej.

Ustawowe kryteria kwalifikacji - art. 15 ust. 2 i 3 [30]	Aspekty związane z refundacją BCG-medac®
Ta sama nazwa międzynarodowa lub inna nazwa międzynarodowa, ale podobne działanie terapeutyczne i zbliżony mechanizm działania leków we wspólnej grupie	Niespełnione. Brak w Wykazie opcjonalnych technologii możliwych do stosowania w analizowanym wskazaniu (dopęcherzowe podawanie BCG) [37].
Taki sam zakres wskazań objętych refundacją leków we wspólnej grupie	Niespełnione. Brak w Wykazie opcjonalnych technologii możliwych do stosowania w analizowanym wskazaniu (dopęcherzowe podawanie BCG) [37].
Podobna skuteczność leków we wspólnej grupie	Niespełnione. Brak w Wykazie opcjonalnych technologii możliwych do stosowania w analizowanym wskazaniu (dopęcherzowe podawanie BCG) [37].
Droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny – oddzielna grupa	Niespełnione. Brak w Wykazie opcjonalnych technologii możliwych do stosowania w analizowanym wskazaniu (dopęcherzowe podawanie BCG) [37].
Podobny efekt zdrowotny lub podobny dodatkowy efekt zdrowotny pomimo odmiennych mechanizmów działania leków we wspólnej grupie	Niespełnione. Brak w Wykazie opcjonalnych technologii możliwych do stosowania w analizowanym wskazaniu (dopęcherzowe podawanie BCG) [37].

Wnioskowana technologia stanowi standard leczenia pacjentów z populacji docelowej na świecie [109]. Z uwagi na brak opcjonalnych technologii w Wykazie [37], w opracowaniu założono refundację wnioskowanej technologii w ramach nowej, osobnej grupy limitowej.

Zgodnie z art. 14 ust. 1 pkt 1 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia, stosowana w leczeniu nowotworu złośliwego, będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie.

Podstawowe informacje na temat wnioskowanej technologii i proponowanego sposobu jej finansowania ze środków publicznych przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 2. Oceniana technologia i sugerowany sposób jej finansowania.

Aspekt	Wartość
Wnioskowana technologia	
Nazwa handlowa	BCG-medac®
Substancja czynna	<i>bacillus Calmette–Guérin ad immunocurationem</i>
Kod ATC	L03AX03
Kod EAN	5909991021818
Nr pozw. UE/PL:	PL: 10218
Postać farmaceutyczna	proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia zawiesiny do podawania do pęcherza moczowego; system zamknięty umożliwiający zachowanie sterylności preparatu bez dodatkowych wymogów [112]
Zawartość opakowania	1 fiol.s.subs. (+1 syst.z roz.50ml)
Kategoria dostępności	Rpz (wydawane z przepisu lekarza do zastrzeżonego stosowania)
Podmiot odpowiedzialny	MEDAC GESELLSCHAFT FUR KLINISCHE SPECIALPRAPARATE MBH, NIEMCY
Wytwórca	MEDAC GMBH, NIEMCY
Sugerowany sposób finansowania	
Kategoria dostępności refundacyjnej	Lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny dostępny w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń (art. 6 ust 1 pkt 1 lit. a ustawy [30])
Grupa limitowa	Nowa, osobna grupa

Aspekt	Wartość
Poziom odpłatności świadczeniobiorcy	0% / bezpłatny (art. 14 ust 1 pkt 1 ustawy [30])

Zgodnie z opinią ekspertów klinicznych uczestniczących w badaniu kwestionariuszowym [67], [68] w Polsce stosowane są różne schematy podawania szczepionki BCG w ramach leczenia pacjentów z analizowanej populacji. Charakterystyka produktu leczniczego również nie ogranicza ilości schematów podawania wnioskowanej technologii [66]. W badaniach klinicznych, uwzględnionych przy ocenie efektów klinicznych stosowania porównywanych interwencji, uwzględniono różnorodne schematy podawania [114]. Wydaje się, że wyłącznie leczenie wprowadzające, polegające na podawaniu 6 dawek szczepionki w odstępach tygodniowych, stanowi standard podawania.

Niemniej jednak na podstawie odpowiedzi 4 ekspertów klinicznych [68] (szczegóły w części A arkusza „Model BIA” modelu) ustalono, [REDACTED]

W/w schematy podawania zostały uwzględnione w ramach niniejszej analizy zarówno przy ocenie zużycia zasobów medycznych w grupie wnioskowanej technologii jak i opcjonalnej technologii refundowanej (optymalny schemat podawania BCG w ramach grupy Z107 AOS; por. rozdział 2.4.).

Nie są dostępne dowody wskazujące na przewagę kliniczną żadnego schematu leczenia podtrzymującego [109]. Na tej podstawie przyjęto, że uwzględnione schematy podawania szczepionki BCG będą związane z taką samą skutecznością kliniczną, jak określono w ramach Analizy ekonomicznej na podstawie dostępnych źródeł informacji [114]. Mając na uwadze, że w opracowaniu uwzględniono wyniki modelu analizy ekonomicznej dotyczące tylko pierwszych 3 lat od zastosowania immunoterapii BCG, przyjęte założenie nie wpływa istotnie na wyniki.

Szczegółowe informacje na temat wnioskowanej technologii zamieszczono w Analizie problemu decyzyjnego [40].

2.2. PERSPEKTYWA ANALIZY

Analizowany problem decyzyjny dotyczy objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny dla produktu leczniczego BCG-medac® w ramach części A1 „Leki refundowane dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem

kluczowym Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych [40] (por. rozdział 2.1.).

Proponowany sposób refundacji nie uwzględnia współpłacenia świadczeniobiorcy za produkt leczniczy, z uwagi na wskazania obejmujące leczenie nowotworu złośliwego [30].

Wyniki Analizy ekonomicznej [114] świadczą, że kategorie kosztu z perspektywy świadczeniobiorcy stanowią niewielki (<5%) udział w całkowitym koszcie leczenia pacjentów z analizowanej populacji.

Mając powyższe na uwadze, zgodnie z Wytycznymi dla przeprowadzania ocen technologii medycznych, opublikowanymi przez AOTMiT [1], niniejsza analiza wpływu na budżet została przeprowadzona wyłącznie z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, Narodowego Funduszu Zdrowia).

2.3. HORYZONT CZASOWY ANALIZY

W analizie wpływu na budżet dokonuje się oceny wpływu danej technologii medycznej na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej w czasie kilku lat następujących po podjęciu decyzji o finansowaniu ze środków publicznych nowej technologii, zazwyczaj do ustalenia się równowagi na rynku lub co najmniej w ciągu pierwszych 2 lat od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych [1].

Punkt początkowy niniejszej analizy obejmuje pierwszy rok, w którym będzie możliwe stosowanie refundowanego produktu leczniczego BCG-medac® w ramach scenariusza nowego (przy założeniu pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia dotyczącej refundacji i ustalenia urzędowej ceny dla produktu BCG-medac® stosowanego w analizowanym wskazaniu). Założono objęcie refundacją wnioskowanej technologii pod koniec 2017 roku (wejście w życie Obwieszczenia Ministra Zdrowia umieszczającego wnioskowaną technologię w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych) i pierwsze wykorzystanie wnioskowanej technologii na początku 2018 roku. Założono, że pierwszy rok analizy będzie obejmował cały 2018 rok.

Ustalono, że ze względu na charakter schorzenia (nowotwór złośliwy; brak możliwości zastosowania żadnej innej terapii przez urologa [67], [68]) i możliwość zastosowania immunoterapii BCG w aktualnej praktyce klinicznej, która poprzez proponowaną zmianę sposobu finansowania tylko zwiększy dostępność immunoterapii BCG dla chorego [67], [68], moment stabilizacji analizowanego

rynku powinien wystąpić bardzo szybko i na tej podstawie przyjęto, że będzie to okres pierwszych 3 lat jego realizacji.

Zasadność przyjęcia okresu nie krótszego niż dwuletni potwierdzają informacje w art. 11. ust. 3 pkt. 3 Ustawy o refundacji [30] świadczące, iż pozytywne rozpatrzenie wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny dla produktu BCG-medac® stosowanego w analizowanym wskazaniu, będzie obowiązywać przez 2 lata od decyzji Ministra Zdrowia.

W ramach analizy wpływu na budżet dotyczącej stosowania produktu leczniczego BCG-medac® w analizowanym wskazaniu przeprowadzono symulację wysokości nakładów finansowych z jednorocznego budżetu płatnika publicznego. Przeprowadzono również ocenę konsekwencji finansowych dla kolejnych lat obserwacji w odniesieniu do porównywanych ze sobą możliwych scenariuszy („nowy scenariusz” vs „scenariusz istniejący”) w okresie 3 pierwszych lat obowiązywania pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia, przy corocznej ocenie wydatków z budżetu płatnika publicznego.

2.4. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE I PUNKTY KOŃCOWE ANALIZY

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii (*status quo*, „scenariusz istniejący”; finansowanie ze środków publicznych immunoterapii BCG wyłącznie w ramach grupy Z107 AOS) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji wpisania wnioskowanej technologii do części A1 Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych („nowy scenariusz”).

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono w ujęciu wszystkich pacjentów, którzy zgodnie z proponowanym sposobem finansowania będą mieli możliwość stosowania wnioskowanej technologii (por. rozdział 2.5.1.). Przedstawiono wyniki w ujęciu wszystkich pacjentów, którzy kwalifikują się do inicjalizacji immunoterapii BCG w horyzoncie czasowym analizy wpływu na budżet. Uwzględniono wszystkie koszty leczenia w/w pacjentów, zarówno w okresie podawania porównywanych technologii jak i po ich zakończeniu, do momentu zgonu lub zakończenia horyzontu czasowego analizy.

W opracowaniu uwzględniono opcjonalne technologie możliwe do stosowania wśród pacjentów z analizowanej populacji.

Na podstawie opinii ekspertów klinicznych, uczestniczących w badaniu kwestionariuszowym [67], [68], a także przy uwzględnieniu wyników ogólnopolskiego badania ośrodków medycznych [102] ustalono, że w chwili obecnej w Polsce rozpowszechnienie immunoterapii BCG wśród pacjentów z analizowanej populacji jest ograniczone. Ustalono, że u części pacjentów immunoterapia BCG nie jest stosowana

(brak interwencji) lub przeprowadzana w schemacie niezapewniającym optymalnych efektów leczenia (np. tylko leczenie wprowadzające / indukcja leczenia).

Na podstawie w/w źródeł, w opracowaniu uwzględniono następujące, opcjonalne schematy postępowania dla wnioskowanej technologii udostępnionej w obrocie aptecznym:

- stosowanie optymalnego schematu podawania szczepionki BCG rozliczanej w ramach świadczenia AOS Z107 (większość pacjentów z grupy wysokiego ryzyka, część pacjentów z grupy pośredniego ryzyka);
- stosowanie sub-optymalnego schematu podawania szczepionki BCG (tylko indukcja/leczenie wprowadzające) rozliczanej w ramach świadczenia AOS Z107 (głównie część pacjentów z grupy pośredniego ryzyka);
- brak interwencji (głównie część pacjentów z grupy pośredniego ryzyka).

Strukturę istniejącej praktyki klinicznej określono na podstawie wyników badania kwestionariuszowego [68] (analiza podstawowa – uwzględniono odsetki pacjentów podawane przez ekspertów) lub wyników ogólnopolskiego badania ośrodków medycznych [102] (scenariusz SA3 analizy wrażliwości – uwzględniono odsetki ośrodków medycznych).

Uwzględnione informacje przedstawiono w tabelach poniżej (szczegóły w części A arkusza „Model BIA”).

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

* określono jako dopełnienie do 100%

Analogicznie jak dla wnioskowanej technologii, zarówno dawkowanie jak i przeżycie na immunoterapii zostało określone na podstawie wyników modelu Analizy ekonomicznej uwzględniającego najczęstszy schemat podawania szczepionki BCG w analizowanych wskazaniach – szczegóły przedstawiono w Analizie ekonomicznej [114] i rozdziale 2.1. niniejszego opracowania.

Założono, że w horyzoncie czasowym analizy wszyscy pacjenci z analizowanej populacji będą stosować w/w interwencje w ramach scenariusza istniejącego. W ramach scenariusza nowego część pacjentów przekwalifikuje się na stosowanie wnioskowanej technologii, dostępnej w ramach proponowanego sposobu finansowania, zgodnie z opinią ekspertów klinicznych [67], [68].

Założono, że:

- wszyscy pacjenci poddawani tylko obserwacji (brak interwencji) zostaną objęci pełną immunoterapią w ramach nowego scenariusza;
- wszyscy pacjenci poddawani tylko leczeniu wprowadzającemu (indukcji) zostaną objęci pełną immunoterapią w ramach nowego scenariusza.

Dodatkowo przyjęto, że część pacjentów aktualnie stosująca optymalny schemat podawania BCG w ramach Z107, przekwalifikuje się na stosowanie wnioskowanej technologii dostępnej w obrocie aptecznym. Przyjęto, że tylko ośrodki aktualnie stosujące wnioskowaną technologię w ramach świadczenia Z107 [102]) zmienią sposób nabywania szczepionki do podania dopęcherzowego. Z uwagi na odmienne wymogi związane z podaniem produktu BCG-medac® (układ zamknięty, niewymagający tak rygorystycznych warunków aseptycznych [112]) i Onko BCG® (drugiej najczęściej stosowanej szczepionki w Polsce [102]) założono, że pozostałe ośrodki nie zmienią formy rozliczania immunoterapii BCG z NFZ (ośrodki przyzwyczajone do stosowania tańszej szczepionki pomimo konieczności zapewnienia większego rygoru sterylności).

Niemniej jednak mając na uwadze, iż realizacja proponowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych może zapewnić immunoterapię większej liczbie pacjentów w ramach takiego samego kontraktu NFZ (oczekiwany koszt podawania szczepionki i refundacji jej kosztu jest co najmniej 5,5-krotnie niższy niż koszt świadczenia Z107; por. rozdział 2.7.), w ramach scenariusza SA5 analizy wrażliwości uwzględniono przekwalifikowanie się wszystkich pacjentów aktualnie stosujących szczepionkę BCG w ramach świadczenia Z107 na leczenie produktem dostępnym w obrocie aptecznym.

W analizie założono, że realizacja proponowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii nie spowoduje zmiany schematu postępowania z pacjentem, który aktualnie kwalifikowany jest do radykalnej cystektomii bez uprzedniej immunoterapii BCG. Jest to zgodne z opinią eksperta [67]. Wydaje się, że chorzy z tej grupy, objęci zostaliby terapią również przy dostępności BCG wyłącznie w ramach AOS Z107. Kwalifikacja do cystektomii wynika więc wyłącznie z indywidualizacji leczenia tych pacjentów i prawdopodobnie uwzględni choroby współistniejące lub specyficzny charakter pacjentów.

Na uwagę zasługuje, że przedstawione powyżej założenia stanowią konserwatywne podejście do rozważanego problemu decyzyjnego (zawyżają dodatkowe nakłady finansowe związane z realizacją scenariusza nowego).

Zgodnie z opinią ekspertów klinicznych [68], realizacja proponowanego sposobu refundacji wnioskowanej technologii niekoniecznie przełoży się na [REDACTED]

[REDACTED]

Niemniej jednak, z uwagi na brak dokładnych informacji na temat docelowego wykorzystania BCG od wszystkich ekspertów, w opracowaniu uwzględniono konserwatywny scenariusz opisany powyżej.

Zestawienie założeń porównywanych scenariuszy przedstawiono w tabeli poniżej.

[REDACTED]

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

[REDACTED]

W ramach niniejszej analizy wpływu na system ochrony zdrowia przedstawiono:

- wielkość populacji, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 rozporządzenia [3] (por. rozdział 2.5.),
- ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, zgodnie z §6 ust. 4 rozporządzenia [3] (prognoza opisana jako „scenariusz istniejący”, *status quo*),
- ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, zgodnie z §6 ust. 5 rozporządzenia [3] (prognoza opisana jako „nowy scenariusz”),

- oszacowanie różnicy w w/w prognozach, zgodnie z §6 ust. 6 rozporządzenia [3],
- zgodnie z §6 ust. 7 rozporządzenia [3], przedstawiono również prognozy i różnice w ich wartościach dla dwóch skrajnych scenariuszy wielkości populacji docelowej (warianty opisane jako minimalny i maksymalny).

W ramach niniejszej analizy podjęto również próbę oszacowania aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje, zgodnie z §6 ust. 3 rozporządzenia [3]. Z uwagi na brak jakichkolwiek informacji na temat wydatków płatnika publicznego na leczenie pacjentów z analizowanej populacji, przy ocenie całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego przeznaczonych na finansowanie opieki nad pacjentami z analizowanej populacji, przeprowadzono modelowanie analogiczne do opisanych wyżej prognoz.

2.5. CHARAKTERYSTYKA I WIELKOŚĆ ANALIZOWANEJ POPULACJI

2.5.1. CHARAKTERYSTYKA ANALIZOWANEJ POPULACJI

Charakter analizowanej populacji został określony w oparciu o zakres wnioskowanego wskazania, który w 100% pokrywa się z zarejestrowanymi wskazaniami do stosowania produktu leczniczego BCG-medac® [66].

Zarejestrowane wskazania do stosowania ocenianego produktu leczniczego obejmują leczenie nieinwazyjnego raka nabłonkowego pęcherza moczowego:

- leczenie raka *in situ*,
- leczenie profilaktyczne w celu zapobiegania nawrotom:
 - raka nabłonkowego ograniczonego tylko do błony śluzowej:
 - Ta G1-G2 jeśli to jest guz wielogniskowy i (lub) nawracający
 - Ta G3
 - raka nabłonkowego umiejscowionego w błonie właściwej, ale nie mięśniowej pęcherza moczowego (T1)
 - raka *in situ* [66].

Pacjentów kwalifikujących się do stosowania BCG w ramach w/w wskazań podzielono na grupy ryzyka, zgodnie z obowiązującą w praktyce klasyfikacją [67]. Wykorzystano klasyfikację Europejskiego Stowarzyszenia Urologii (tabela poniżej) [109].

Tabela 6. Struktura grup ryzyka [109].

Grupa ryzyka	Charakter
Niskie	Pierwotny, pojedynczy guz, Ta, G1/G2 (PUNLMP, LG wg WHO/ISUP 2004), < 3 cm, nie CIS
Pośrednie	Pozostali chorzy, nie spełniający kryteriów grupy niskiego i wysokiego ryzyka
Wysokie	T1 lub G2/G3 (HG wg WHO/ISUP 2004) lub CIS lub wielogniskowy, nawracający i duży (>3 cm) stadium Ta G1G2

Pacjenci z analizowanej populacji kwalifikują się do grupy ryzyka pośredniego lub wysokiego [67], [109].

Uwzględniona we Wniosku populacja chorych odzwierciedla charakterystyki pacjentów włączonych do badań klinicznych, których wyniki zostały wykorzystane w modelu ekonomicznym [114].

Na uwagę zasługuje, że wyniki modelowania uwzględnione do oszacowania zużycia zasobów i średnich kosztów w przeliczeniu na jednego pacjenta, zostały wygenerowane przy uwzględnieniu charakterystyk wszystkich pacjentów włączonych do badań klinicznych – szczegóły w Analizie ekonomicznej [114].

Tym samym założono, że charakterystyki pacjentów z analizowanej populacji będą zbliżone do charakterystyk chorych uczestniczących w w/w badaniach.

W opracowaniu uwzględniono populację otwartą pacjentów – obserwacji poddawano zagregowaną grupę pacjentów leczonych z wykorzystaniem porównywanych interwencji w kolejnych latach horyzontu czasowego. Pominięto tym samym koszty wśród pacjentów niekwalifikujących się do immunoterapii BCG w całym horyzoncie analizy oraz chorych rozpoczynających leczenie z wykorzystaniem porównywanych interwencji w latach poprzednich.

Nie poddawano obserwacji każdego pacjenta osobno, gdyż brakuje wiarygodnych informacji umożliwiających przeprowadzenie tego typu analizy.

W pierwszej kolejności oceniono rozpowszechnienie stanu klinicznego wskazanego we Wniosku i następnie określono wydatki z budżetu płatnika publicznego przy uwzględnieniu danych wejściowych i wyników modelu Analizy ekonomicznej [114].

2.5.2. WIELKOŚĆ POPULACJI

Przeprowadzono ocenę liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy uwzględnieniu:

- informacji z Krajowego Rejestru Nowotworów w zakresie liczby zachorowań na raka pęcherza moczowego w Polsce [104],

- informacji przedstawionych w analizie weryfikacyjnej AOTMiT dla produktu leczniczego Hexvix® stosowanego wśród chorych z analogicznej populacji [90],
- wyników badań przeprowadzonych w warunkach polskich [102], [103], [107], [110], [111],
- informacji na temat charakteru leczenia szpitalnego w ramach Jednorodnych Grup Pacjentów [99],
- opinii ekspertów klinicznych [67], [68].

2.5.2.1. WIELKOŚĆ POPULACJI, O KTÓREJ MOWA W § 6 UST. 1 PKT. 1 I 2 ROZPORZĄDZENIA [3]

Na podstawie informacji przedstawionych w analizie weryfikacyjnej AOTMiT [90] ustalono, że w Polsce żyje od 46 do 50 tys. dorosłych pacjentów z rakiem pęcherza moczowego (tabela poniżej).

Tabela 7. Dane NFZ dotyczące liczby chorych na raka pęcherza w Polsce [90].

	2012	2013	2014	styczeń - luty 2015
Liczba dorosłych pacjentów z rakiem pęcherza (ICD-10: C67)	46 545	48 211	49 620	20 468
Liczba dorosłych pacjentów z rakiem pęcherza (ICD-10: C67) korzystająca ze świadczeń szpitalnych grupy L26*	10 133	12 452	14 107	3 423

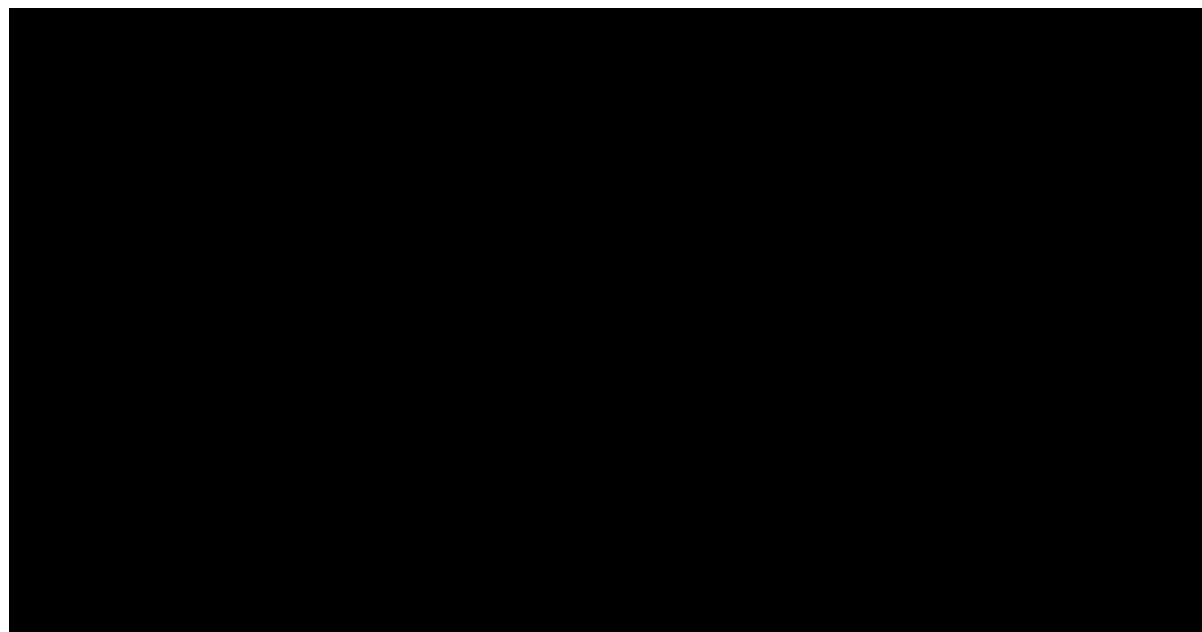
* grupa, w ramach której rozliczana jest przezcewkowa elektroresekcja [99]

W latach 2012 – 2014 od 10 tys. do 14,1 tys. dorosłych pacjentów z rakiem pęcherza moczowego było hospitalizowanych w ramach grupy L26 [90].

Zgodnie z informacjami przedstawionymi na portalu Statystyka JGP [99], odsetek przezcewkowych resekcji wśród wszystkich zabiegów rozliczanych w ramach grupy L26, wyniósł: 58,67% w 2012, 62,62% w 2013 i 68,98% w 2014 roku (dane dotyczą wszystkich hospitalizacji w grupie L26, dla wszystkich rozpoznań głównych).

Łącznie informacje przedstawione w [90] i [99] wskazują, że liczba dorosłych pacjentów z rakiem pęcherza moczowego, u których przeprowadzono przezcewkową resekcję wyniosła: 5 945 w 2012, 7 797 w 2013 i 9 731 w 2014 roku.

Ekstrapolując w/w wartości na horyzont czasowy niniejszej analizy (rysunek poniżej) można teoretycznie określić liczebność populacji chorych kwalifikującą się do stosowania immunoterapii BCG w ramach analizowanych wskazań, gdyż inicjalizacja immunoterapii następuje po wcześniejszej resekcji przezcewkowej guza [66], [109].



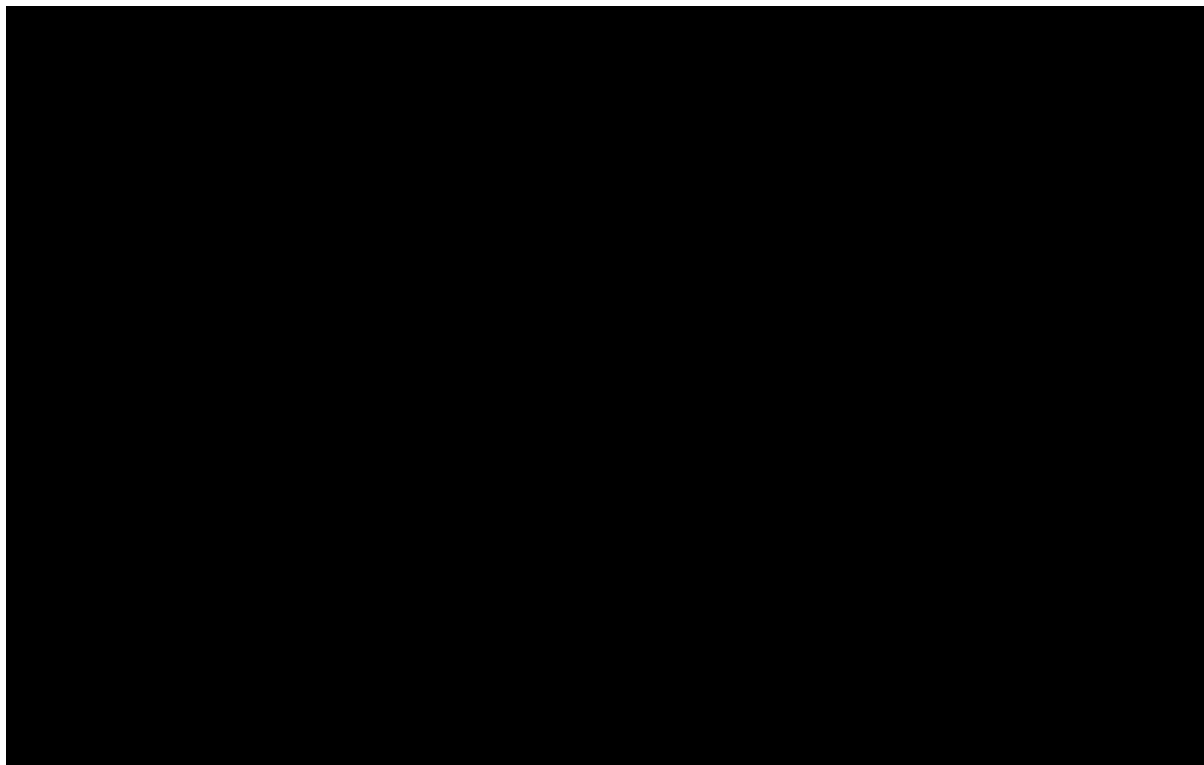
Niemniej jednak, tak określona liczebność populacji z wysokim prawdopodobieństwem jest zawyżona. Przedstawione dane dotyczą również chorych na nowotwory naciekające mięśniówkę i chorych na NMIBC niepredysponowanych do BCG, np. przed radyklaną cystektomią lub przed ponownym zabiegiem resekcji. Oznacza to, że nie wszyscy pacjenci z NMIBC po resekcji przezcewkowej kwalifikują się do immunoterapii BCG (zależy od skuteczności zabiegu i oceny uzyskanego materiału biologicznego).

Co więcej, ekstrapolacja na podstawie 3 punktów empirycznych, pomimo wręcz idealnego dopasowania statystycznego ($R^2=0,9998$), cechuje się niską wiarygodnością – nie pozwala uchwycić oczekiwanego punktu osiągnięcia maksymalnej liczby świadczeń dostępnych w ramach kontraktów świadczeniobiorcy z NFZ.

Obserwowany w ramach prognozy prawie 4-krotny wzrost liczby chorych w ciągu 8 lat wydaje się, z tego powodu, mało wiarygodny.

Mając powyższe na uwadze, liczebność populacji docelowej została określona na podstawie danych z Krajowego Rejestru Nowotworów [104], a wyniki ekstrapolacji w/w danych zostały uwzględnione w ramach analizy wrażliwości (scenariusz SA2) jako scenariusz maksymalny, istotnie przeszacowujący liczebność analizowanej populacji pacjentów.

Dane Krajowego Rejestru Nowotworów [104] oraz ich ekstrapolacja do 2020 roku została przedstawiona na rysunku poniżej (szczegóły w części A arkusza „Model BIA”).



Na podstawie dostępnych informacji literaturowych [90], [102], [103], [107], [110], [111] oraz opinii ekspertów klinicznych [67], [68] ustalono:

- odsetek pacjentów z NMIBC wśród zachorowań na raka pęcherza,
- odsetek pacjentów z grupy pośredniego lub wysokiego ryzyka wśród pacjentów z NMIBC oraz
- odsetek pacjentów z grupy wysokiego ryzyka wśród pacjentów z NMIBC kwalifikujących się do immunoterapii BCG (pośrednie lub wysokie ryzyko).

Szczegółowe informacje na temat zidentyfikowanych źródeł przedstawiono w części A arkusza „Model BIA”. Poniżej przedstawiono podsumowanie.

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

Liczebność populacji docelowej, w zależności od stosowanej interwencji, została przedstawiona poniżej.

[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]

Ustalono, że w ramach istniejącej praktyki klinicznej do immunoterapii z wykorzystaniem szczepionki BCG kwalifikuje się:

- [Redacted]
- [Redacted]
- [Redacted]

Ustalono, że realizacja nowego scenariusza, związana ze stosowaniem wnioskowanej technologii w miejsce schematów o niższej skuteczności (brak interwencji, tylko leczenie wprowadzające BCG), może przełożyć się na redukcję liczby ponownych kwalifikacji do immunoterapii BCG. W horyzoncie czasowym analizy zaobserwowano mniejszą liczbę ponownych kwalifikacji do immunoterapii BCG w przypadku nawrotu [Redacted]

Zakładając docelowo [REDACTED] wykorzystanie immunoterapii BCG z uwzględnieniem wnioskowanej technologii po proponowanej zmianie sposobu finansowania określono, że dostępny w obrocie aptecznym produkt leczniczy BCG-medac® stosować będzie:

- [REDACTED]

2.5.2.2. PODSUMOWANIE INFORMACJI NA TEMAT WIELKOŚCI POPULACJI PACJENTÓW

Podsumowanie informacji na temat wielkości populacji docelowej, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej przedstawiono w tabeli poniżej.

[REDACTED]

[REDACTED]

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

2.6. ANALIZA WPŁYWU NA SKUTKI ZDROWOTNE

Nie przeprowadzono odrębnej analizy wpływu na skutki zdrowotne – uwzględniono konsekwencje kosztowe efektów zdrowotnych porównywanych interwencji (tj. zaprzestania immunoterapii niezależnie od powodu, wystąpienia nawrotu choroby czy wystąpienia progresji choroby) oraz konsekwencje w zakresie liczby ponownych kwalifikacji do immunoterapii BCG w przypadku nawrotu.

Obliczenia w ramach niniejszej analizy oparto na niezdykontowanych wynikach modelu decyzyjnego opisanego w Analizie ekonomicznej [114]. Uwzględniono wyniki w przeliczeniu na 1 pacjenta w punkcie początkowym analizy ekonomicznej. Tak określone koszty, obserwowane w kolejnych latach, przypisano każdemu pacjentowi włączanemu do obserwacji w ramach analizy wpływu na budżet, w zależności od okresu jaki minął od włączenia.

Uwzględnione w opracowaniu wyniki modelowania przedstawiono w tabeli poniżej.

Podstawowe założenia w zakresie danych kosztowych:

- koszt wnioskowanej technologii ustalono na podstawie proponowanej przez Wnioskodawcę ceny [redacted] i sposobu refundacji (część A1 Wykazu; 0% odpłatność świadczeniobiorcy);
- założono, że utworzona zostanie grupa w ramach AOS umożliwiająca podawanie szczepionki BCG zakupionej w aptece; koszt tego świadczenia określono na podstawie opinii ekspertów, uwzględniając minimalną wartość [redacted];
- w opracowaniu uwzględniono koszt farmakoterapii, oszacowany zgodnie z zasadami refundacji leków, określonymi w ramach Ustawy 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 późn. zm.) [30] oraz koszt leków zgodny z obwieszczeniem Ministra Zdrowia dotyczącym Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, wchodzącym w życie z dniem 1 stycznia 2017 roku [37];
- koszt punktu za świadczenia szpitalne przyjęto na poziomie 52 PLN, a koszt AOS w zakresie urologii na poziomie 8,91 PLN, zgodnie z przeszukaniem Informatora o umowach NFZ [45]; koszt podawania szczepionki BCG w ramach Z107 określono na poziomie 338,55 PLN;
- koszt opieki nad analizowanymi pacjentami oraz charakter leczenia nawrotu i progresji choroby określono na podstawie wyników badania kwestionariuszowego wśród 4 ekspertów [68].

Bezpośrednie dane wejściowe analizy wpływu na budżet w zakresie kosztów przedstawiono w tabeli poniżej (szczegóły w [114]).

[redacted]

[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Opierając się na Wytycznych przeprowadzania Ocen Technologii Medycznych [1], w ramach niniejszej analizy wpływu na budżet nie uwzględniono dyskontowania.

2.8. METODY ESTYMACJI WYNIKÓW ANALIZY W UJĘCIU POPULACYJNYM

Zastosowana w niniejszej analizie metoda estymacji wyników w ujęciu populacyjnym, uwzględnia obserwację rocznej liczby pacjentów, która pozwala określić sumaryczne zużycie danych zasobów lub sumaryczne koszty w ujęciu populacyjnym.

W uproszczeniu, iloczyn liczby pacjentów w danym roku oraz rocznego zużycia danego zasobu medycznego i jego kosztu jednostkowego pozwala określić całkowite wydatki wśród pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku.

Ponieważ wykorzystane wyniki modelu ekonomicznego obrazują koszt w przeliczeniu na pacjenta rozpoczynającego leczenie z wykorzystaniem porównywanych interwencji, uwzględniają wpływ utraty części obserwowanej kohorty z powodu zgonu (pacjent, który zmarł nie generuje kosztu). Tym samym koszt w kolejnych latach od rozpoczęcia leczenia określono jako iloczyn liczby pacjentów rozpoczynających leczenie i średniego kosztu obserwowanego w kolejnych latach.

Na uwagę zasługuje, że w opracowaniu uwzględniono liczbę pacjentów rozpoczynających stosowanie porównywanych interwencji w dowolnym momencie roku i przypisano im (maksymalizując wydatki) koszt/zużycie zasobów odpowiadające pełnemu rokowi obserwacji – przyjęto włączenie każdego pacjenta do obserwacji pierwszego dnia każdego roku horyzontu czasowego.

2.9. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI I WYKAZ PARAMETRÓW ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

W ramach analizy podstawowej uwzględniono trzy warianty:

- najbardziej prawdopodobny, uwzględniający realistyczne wartości parametrów dotyczących wielkości analizowanej populacji i wpływu refundacji wnioskowanej technologii na budżet płatnika publicznego,
- minimalny, uwzględniający skrajne założenia i wartości z zakresu niepewności parametrów dotyczących wielkości analizowanej populacji, generujące minimalne wydatki z budżetu,
- maksymalny, uwzględniający skrajne założenia i wartości zakresu niepewności parametrów dotyczących wielkości analizowanej populacji, generujące maksymalne wydatki z budżetu.

Parametry poszczególnych wariantów zostały przedstawione w tabeli poniżej (szczegóły dotyczące parametrów oceny wielkości populacji zostały przedstawiono w rozdziale 2.5.).

[Redacted text]

[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]

Wspólne parametry wszystkich wariantów przedstawiono w tabeli poniżej.

[Redacted text]

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

- uwzględniono opublikowane dane na temat wielkości populacji docelowej dla wnioskowanej technologii (do modyfikacji w arkuszu „Ustawienia BIA”);
- założono wzrost zapadalności na stan kliniczny wskazany we wniosku w horyzoncie analizy oraz ponowne kwalifikacje do immunoterapii BCG;
- uwzględniono zużycie porównywanych interwencji zgodne z istniejącą praktyką kliniczną;
- uwzględniono najczęściej stosowany schemat podawania BCG w praktyce klinicznej, przypisując mu skuteczność obserwowaną w badaniach klinicznych, uwzględnionych w Analizie ekonomicznej [114] (różne częstotliwości podawania szczepionki w badaniach klinicznych);
- uwzględniono wpływ zmiany statusu refundacyjnego wnioskowanej technologii na zakres jej wykorzystania kosztem wszystkich schematów o niższej skuteczności (brak interwencji, tylko leczenie wprowadzające w ramach Z107) oraz części optymalnego schematu podawania BCG w ramach Z107 (część uwzględniająca podawanie BCG-medac®);
- uwzględniono różnice w skuteczności klinicznej porównywanych interwencji określone w ramach wyników opublikowanych meta-analiz i ich aktualizacji [114];
- koszty opieki nad pacjentami określono na podstawie opinii ekspertów klinicznych [67], [68].

W ramach analizy wrażliwości rozpatrywano scenariusze opisane w tabeli poniżej.

Tabela 18. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.

Scenariusz	Opis	Uwagi
SA1	Analiza podstawowa.	W celu zestawienia wyników analizy podstawowej oraz scenariuszy analizy wrażliwości
SA2	Wielkość populacji na podstawie danych dotyczących liczby zabiegów przezcewkowej resekcji [90]	Maksymalny scenariusz zawyżający liczebność populacji docelowej; por. rozdział 2.5.2.1.; <u>Z uwagi na brak danych nie uwzględniono parametru określającego po jakim odsetku zabiegów przeprowadzana jest immunoterapia (przyjęto 100%).</u>
SA3	Struktura istniejącej praktyki na podstawie wyników badania (odsetki ośrodków) [102]	Uwzględniono parametr opisujący odsetek ośrodków medycznych – jednoznaczny z odsetkiem pacjentów wyłącznie w przypadku zrównoważonej liczby pacjentów przypadających na ośrodek medyczny
SA4	Brak przejmowania optymalnej immunoterapii BCG w AOS Z107 (indukcja i leczenie podtrzymujące)	Utrzymanie aktualnej struktury immunoterapii BCG w AOS; wnioskowana technologia w obrocie aptecznym przejmuje wyłącznie sub-optymalny schemat leczenia BCG (tylko leczenie wprowadzające / indukacja) oraz brak interwencji
SA5	Przejęcie całej optymalnej immunoterapii BCG w AOS Z107 (indukcja i leczenie podtrzymujące) przez wnioskowaną technologię	Odzwierciedla założenie o przejęciu całego rynku przez wnioskowaną technologię
SA6	Przejęcie chorych kwalifikujących się do natychmiastowej cystektomii	Bada wpływ na wyniki hipotetycznej sytuacji zakładającej, że natychmiastowa cystektomia jest leczeniem z wyboru, a nie podyktowanym potrzebami pacjenta
SA7	Koszt podania BCG-medac na poziomie średniej z odpowiedzi ekspertów	Opcjonalna metoda wyceny świadczenia zapewniającego podawanie szczepionki zakupionej przez pacjenta w aptece
SA8	Podanie wnioskowanej technologii tylko w prywatnej	Zakłada brak kosztu podawania wnioskowanej

Scenariusz	Opis	Uwagi
	praktyce	technologii z perspektywy NFZ
SA9	Dodatkowy efekt kliniczny immunoterapii BCG (HR dla nawrotu i HR dla progresji) na poziomie dolnej granicy 95% CI [114]	Testowanie parametrów modelowania mających najwyższy wpływ na wyniki Analizy ekonomicznej [114]
SA10	Dodatkowy efekt kliniczny immunoterapii BCG (HR dla nawrotu i HR dla progresji) na poziomie górnej granicy 95% CI [114]	
SA11	Koszt wnioskowanej technologii na poziomie minimalnej ceny progowej z analizy ekonomicznej	Testowanie opcjonalnych wariantów cenowych [1] – uwzględniono zakres cen progowych obserwowanych w wariancie podstawowym analizy ekonomicznej [114]
SA12	Koszt wnioskowanej technologii na poziomie maksymalnej ceny progowej z analizy ekonomicznej	
SA13	Pominięto ponowne kwalifikacje do immunoterapii BCG	Testowanie założeń strukturalnych modelu oceniającego liczebność populacji docelowej: pominięcie ponownych kwalifikacji do immunoterapii BCG tylko wśród pacjentów diagnozowanych przed horyzontem BIA lub wszystkich ponownych kwalifikacji (diagnoza przed i w trakcie horyzontu BIA)
SA14	Pominięto kwalifikacje do BCG wśród chorych diagnozowanych przed horyzontem BIA	

HR, ang. *Hazard Ratio* (względny hazard); BIA, *Budget-Impact Analysis* (analiza wpływu na budżet)

3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO

Obecnie produkt leczniczy BCG-medac® nie jest bezpośrednio finansowany ze środków publicznych w Polsce i tym samym składowa kosztów opieki nad pacjentami w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, uwzględniająca podawanie analizowanego produktu, nie występuje. Analizowany produkt może być stosowany w ramach świadczenia Z107 i jest wykorzystywany przez [REDACTED] ośrodków medycznych udostępniających immunoterapię BCG pacjentom z analizowanej populacji [102].

Nie są dostępne informacje na temat aktualnych wydatków wśród pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku.

Przeprowadzając analogiczne obliczenia liczebności populacji jak w ramach scenariusza istniejącego dla 2017 roku (por. rozdział 2.5.2.; szczegóły w części C arkusza „Model BIA”) i uwzględniając wyniki modelu ekonomicznego w zakresie rocznego zużycia zasobów medycznych i średnich rocznych kosztów w pierwszym roku od rozpoczęcia leczenia (por. rozdział 2.6.) można ustalić, że aktualne wydatki z budżetu płatnika publicznego, przeznaczone na opiekę nad pacjentami z analizowanej populacji, wynoszą około [REDACTED] rocznie z uwzględnieniem tylko chorych rozpoczynających leczenie BCG w danym roku.

[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]

Na uwagę zasługuje, że w/w oszacowania nie uwzględniają kosztów obserwowanych w kolejnych latach od rozpoczęcia immunoterapii BCG. W ramach analizy wpływu na budżet aspekt ten został uwzględniony.

3.1. Aktualne wydatki z budżetu płatnika publicznego

3.2. Wariant najbardziej prawdopodobny



3.2. WARIANT NAJBARDZIEJ PRAWDOPODOBNY

[Redacted header text]

[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]

3.2. Wariant najbardziej prawdopodobny

3.3. Wariant minimalny



[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]	[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]

3.3. Wariant minimalny
3.4. Wariant maksymalny



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

[Redacted text block containing multiple paragraphs of blacked-out content]

4. ANALIZA ZUŻYTYCH ZASOBÓW

Poniżej przedstawiono informacje na temat estymowanego zużycia podstawowych zasobów medycznych w horyzoncie analizy.

[Redacted content]

[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]

5. ANALIZA WPŁYWU NA EFEKTY ZDROWOTNE

Nie przeprowadzono osobnej analizy wpływu na skutki zdrowotne (por. rozdział 2.6.).

6. ANALIZA WPŁYWU NA ORGANIZACJĘ UDZIELANIA ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH

Wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet świadczą, że uwzględnienie sugerowanego sposobu finansowania ocenianej technologii ze środków publicznych, [Redacted]

Stosowanie produktu leczniczego BCG-medac® w analizowanym wskazaniu nie nakłada szczególnych wymagań na pacjenta czy świadczeniodawcę. Leczenie pacjentów z analizowanej populacji nie wymaga dodatkowego wyposażenia placówek medycznych (sprzęt, personel i inne) czy stosowania dodatkowych środków ostrożności. Wszystkie ewentualne wymagania związane z analizowaną technologią medyczną są już spełnione przez placówki medyczne obejmujące opieką medyczną pacjentów z analizowanej populacji mających dostęp do immunoterapii BCG w ramach świadczenia Z107.

W chwili obecnej, wyniki zdrowotne chorych na raka pęcherza z Polski są jedne z najgorszych w Europie [101], [103]. Zwiększenie dostępności do immunoterapii BCG, wśród pacjentów z analizowanej populacji, może istotnie poprawić wskaźniki epidemiologiczne tej choroby w Polsce wpływając na wyniki zdrowotne poszczególnych chorych. Sugerowany przez wnioskodawcę sposób refundacji pozwala zdjąć ze świadczeniodawcy odpowiedzialność finansową za zakup szczepionki BCG. Wprowadzenie dodatkowo procedury medycznej, umożliwiającej podawanie dopęcherzowe szczepionki BCG, pozwoli dodatkowo w obrębie takiego samego kontraktu z NFZ przeprowadzić immunoterapię BCG u kilkukrotnie większej liczby pacjentów.

Pozytywna decyzja refundacyjna nie będzie powodować istotnych problemów społecznych.

Pozytywna decyzja o finansowaniu ocenianej technologii lekowej:

- zwiększy poziom satysfakcji pacjentów z analizowanej populacji z otrzymanej opieki medycznej ze względu na rozszerzenie dostępu do skutecznej opcji terapeutycznej;
- nie grozi nieakceptowaniem postępowania pacjentów z analizowanej populacji;
- nie będzie powodować lub wpływać na stygmatyzację;
- nie będzie wywoływać lęku lub dylematów moralnych wśród pacjentów z analizowanej populacji, ich opiekunów oraz lekarzy prowadzących ich terapię;
- nie będzie stwarzać problemów społecznych dotyczących płci lub rodziny.

W ramach oceny aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu BCG-medac® w analizowanym wskazaniu, nie przeprowadzono identyfikacji przeciwników czy zwolenników rozważanej decyzji.

8. OGRANICZENIA ANALIZY

Ze względu na brak opublikowanych informacji na temat zużycia zasobów medycznych wśród pacjentów z analizowanej populacji, w ramach niniejszej analizy dane wejściowe określono na podstawie wyników modelu opisanego w Analizie ekonomicznej [114]. Tym samym część ograniczeń modelu ekonomicznego dotyczy również niniejszego opracowania.

Ograniczeniem związanym z oceną wielkości populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku jest zarówno charakter uwzględnionych źródeł informacji jak i poczynione założenia w odniesieniu do ekstrapolacji wielkości analizowanej populacji pacjentów na horyzont analizy wpływu

na budżet. Wykorzystano opublikowane informacje, które nie pozwalają jednoznacznie potwierdzić wielkości populacji docelowej dla wnioskowanej technologii.

9. DYSKUSJA

Przedmiotem opracowania była ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego BCG-medac[®] w leczeniu dorosłych pacjentów z nieinwazyjnym rakiem nabłonkowym pęcherza moczowego.

W ramach analizy wykorzystano opublikowane źródła informacji, a w przypadku braku opublikowanych danych – opinie ekspertów klinicznych.

Szczegóły dotyczące ograniczeń uwzględnionych w opracowaniu źródeł informacji przedstawiono w rozdziałach: 2., 3. i 5. Analizy ekonomicznej [114] oraz w rozdziale 2. niniejszej analizy wpływu na budżet.

W chwili obecnej, produkt leczniczy BCG-medac[®] nie jest bezpośrednio finansowany ze środków publicznych.

Podjęcie decyzji o finansowaniu produktu leczniczego BCG-medac[®] spowoduje [redacted]

Analiza SWOT (ang. *Strengths, Weaknesses, Opportunities, and Threats*; Mocne Strony, Słabe Strony, Szanse, Zagrożenia) uwzględniająca przedstawione w niniejszej analizie aspekty dotyczące finansowania ze środków publicznych produktu BCG-medac[®], została przedstawiona w tabeli poniżej.

Tabela 25. Analiza SWOT.

Parametr	Wartość
Decyzja	Wpisanie wnioskowanej technologii do części A1 Wykazu
Mocne strony	<ul style="list-style-type: none">wnioskowana technologia wpływa na poprawę zdrowia pacjentów z analizowanej populacji;[redacted][redacted][redacted]wnioskowaną technologię cechuje oparta na dowodach naukowych skuteczność kliniczna przy akceptowalnym poziomie bezpieczeństwa [41];spełnione kryteria świadczenia gwarantowanego;
Słabe strony	<ul style="list-style-type: none">[redacted]aktualnie brak świadczenia medycznego AOS umożliwiającego rozliczenie podawania dopęcherzowego szczepionki BCG zakupionej w aptece;[redacted]

Parametr	Wartość
Szanse	<ul style="list-style-type: none">poprawa wyników zdrowotnych wśród pacjentów z analizowanej populacji [114];brak sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi;brak konieczności dokonania zmian w prawie/przepisach;finansowanie zgodne z prawem pacjenta do świadczeń gwarantowanych;zapewnienie równego dostępu do świadczeń gwarantowanych;zwiększenie poziomu satysfakcji świadczeniobiorców z otrzymanej opieki medycznej ze względu na udostępnienie pacjentowi skutecznego produktu leczniczego, bez ograniczeń związanych z wysokością kontraktu z NFZ
Zagrożenia	nie zidentyfikowano

10. WNIOSKI KOŃCOWE

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

11. OCENA ZAPOTRZEBOWANIA NA ANALIZĘ RACJONALIZACYJNĄ

Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji [30], uzasadnienie wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku zawiera analizę racjonalizacyjną jedynie w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

[REDACTED]

12. BIBLIOGRAFIA

- [1] Wytuczne oceny technologii medycznych AOTMIT wersja 3.0, sierpień 2016. www.aotm.gov.pl (dostęp: styczeń 2017).
- [2] Drummond MF, O'Brien B, Stoddart GL, Torrance GW: Metody badań ekonomicznych programów ochrony zdrowia. Via Media, Gdańsk. 2003.
- [3] Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy zawarte w uzasadnieniu wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego oraz wniosku o podwyżce urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego objętego refundacją (Dz.U. z 2012 r. poz. 388).
- [4] Gajewski P, Jaeschke R, Brożek J: Podstawy EBM, czyli medycyny opartej na danych naukowych dla lekarzy i studentów medycyny. Medycyna Praktyczna Kraków 2008.
- [5] Sheskin DJ: Handbook of parametric and nonparametric statistical procedures. 4th edition, Chapman & Hall/CRC, Boca Raton, 2007.
- [6] Newman SC: Biostatistical methods in epidemiology. John Wiley & sons, Inc, 2001.
- [7] Zeliaś A, Pawełek B, Wanat S: Prognozowanie ekonomiczne. Wydawnictwo Naukowe PWN, Warszawa, 2003.
- [8] Willian AR, Briggs AH: Statistical analysis of cost-effectiveness data. John Wiley & Sons, Ltd, 2007.
- [9] Cantor SB, Ganiats TG: Incremental cost-effectiveness analysis: the optimal strategy depends on the strategy set. J Clin Epidemiol. 1999 Jun;52(6):517-22.
- [10] O'Brien BJ, Briggs AH: Analysis of uncertainty in health care cost-effectiveness studies: An introduction to statistical issues and methods. Statistical Methods in Medical Research. 2002, Vol 11(6); pp 455-468.
- [11] Sonnenberg FA, Beck JR: Markov models in decision making: a practical guide. Med Decis Making 1993, 13: 322-329.
- [12] Miller DK, Homan SM: Determining transition probabilities: confusion and suggestions. Med Decis Making 1994;14:52-8.
- [13] Fleurence RL, Hollenbeak CS. Rates and probabilities in economic modelling: transformation, translation and appropriate application. Pharmacoeconomics. 2007;25(1):3-6.
- [14] Briggs AH, O'Brien JO, Blackhouse G: Thinking outside the box: recent advances in the analysis and presentation of uncertainty in cost-effectiveness studies. Annu Rev Public Health 2002. 23:377-401.
- [15] Tappenden P, Chilcott JB, Eggington S, Oakley J, McCabe C: Methods for expected value of information analysis in complex health economic models: developments on the health economics of interferon-b and glatiramer acetate for multiple sclerosis. Health Technol Assess 2004; 8(27).
- [16] Evans M, Hastings N and Peacock B: "Triangular Distribution." Ch. 40 in Statistical Distributions, 3rd ed. New York: Wiley, pp. 187-188, 2000.
- [17] Limpert E, Stahel WA and Abbt M: 2001. Lognormal distributions across the sciences: keys and clues. Bioscience 51 (5), 341-352.
- [18] Brennan A, Kharroubi S, O'Hagan A and Chilcott J (2007): Calculating Partial Expected Value Of Perfect Information Via Monte-Carlo Sampling Algorithms. Medical Decision Making, 27 (4). 448-470.
- [19] Sculpher M, Claxton K: Establishing the cost-effectiveness of new pharmaceuticals under conditions of uncertainty--when is there sufficient evidence? Value Health. 2005 Jul-Aug;8(4):433-46.
- [20] Briggs AH, Mooney CZ, Wonderling DE. 1999, Constructing confidence intervals for cost-effectiveness ratios: an evaluation of parametric and non-parametric techniques using Monte Carlo simulation. Statistics in Medicine; 18: 3245-62.
- [21] Johnson, N.; Kotz, S.; and Balakrishnan, N. Continuous Univariate Distributions, Vol. 1, 2nd ed. New York: Wiley, 1995.
- [22] Zethraeus N, Johannesson M, Jönsson B, Löthgren M, Tambour M. Advantages of using the net-benefit approach for analysing uncertainty in economic evaluation studies. Pharmacoeconomics. 2003;21(1):39-48
- [23] Berger ML, Bingefors K, Hedblom EC, Pashos CL, Torrance GW: Health Care Cost, Quality, and Outcomes: ISPOR Book of Terms. Lawrenceville, NJ: ISPOR, 2003.
- [24] Connock M, Hyde C, Moore D. Cautions regarding the fitting and interpretation of survival curves: examples from NICE single technology appraisals of drugs for cancer. Pharmacoeconomics. 2011 Oct;29(10):827-37. doi: 10.2165/11585940-000000000-00000.
- [25] Soares MO, Canto E Castro L. Continuous time simulation and discretized models for cost-effectiveness analysis. Pharmacoeconomics. 2012 Dec 1;30(12):1101-17. doi: 10.2165/11599380-000000000-00000.
- [26] Alan Hastings. Population Biology: Concepts and Models. Springer, 1997. ISBN 978-0-387-94853-9.
- [27] Hoyle MW, Henley W. Improved curve fits to summary survival data: application to economic evaluation of health technologies. BMC Med Res Methodol. 2011 Oct 10;11:139.
- [28] Ishak KJ, Kreif N, Benedict A, Muszbek N. Overview of Parametric Survival Analysis for Health-Economic Applications. Pharmacoeconomics. 2013, 31:663-675.

- [29] Krol M, Brouwer W, Rutten F. Productivity costs in economic evaluations: past, present, future. *Pharmacoeconomics*. 2013 Jul;31(7):537-49. doi: 10.1007/s40273-013-0056-3.
- [30] Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych – Obwieszczenie Marszałka Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej z dnia 23 sierpnia 2016 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dz.U. 2016 poz. 1536.
- [31] Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz.U. 2004 nr 210 poz. 2135 z późn. zm. (tekst ujednolicony).
- [32] Ustawa z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto. Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817 (tekst ujednolicony).
- [33] WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology. www.whocc.no/atc_ddd_index/ (ostatnia aktualizacja: styczeń 2017).
- [34] Husereau D, Drummond M, Petrou S, Carswell C, Moher D, Greenberg D, Augustovski F, Briggs AH, Mauskopf J, Loder E. Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards (CHEERS) statement. *Pharmacoeconomics*. 2013 May;31(5):361-7.
- [35] Trikalinos TA, Trow P, Schmid CH. Simulation-Based Comparison of Methods for Meta-Analysis of Proportions and Rates. Methods Research Report. (Prepared by the Tufts Medical Center Evidence-based Practice Center under Contract No. 290-2007-10055- I.) AHRQ Publication No. 13(14)-EHC084-EF. Rockville, MD: Agency for Healthcare Research and Quality; November 2013. www.effectivehealthcare.ahrq.gov/reports/final.cfm.
- [36] Załącznik nr 1 obwieszczenia Prezesa Głównego Urzędu Statystycznego z dnia 31 października 2016 r. w sprawie szacunków wartości produktu krajowego brutto na jednego mieszkańca w latach 2012–2014. M.P.2016.1030.
- [37] Obwieszczenie Ministra Zdrowia z 28 grudnia 2016 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 stycznia 2017 r. (Dz. Urz. Min. Zdr. z 2016 r. poz. 133).
- [38] Shelley MD, Kynaston H, Court J, Wilt TJ, Coles B, Burgon K, Mason MD. A systematic review of intravesical bacillus Calmette-Guérin plus transurethral resection vs transurethral resection alone in Ta and T1 bladder cancer. *BJU Int*. 2001 Aug;88(3):209-16.
- [39] Zhu S, Tang Y, Li K, Shang Z, Jiang N, Nian X, Sun L, Niu Y. Optimal schedule of bacillus calmette-guerin for non-muscle-invasive bladder cancer: a meta-analysis of comparative studies. *BMC Cancer*. 2013 Jul 5;13:332. doi:10.1186/1471-2407-13-332.
- [40] Przygotowana przez Centrum HTA Analiza Problemu Decyzyjnego (APD). Kraków, styczeń 2017 roku.
- [41] Przygotowana przez Centrum HTA Analiza kliniczna (AK) – przegląd systematyczny badań dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, styczeń 2017 roku.
- [42] Komunikat DGL 21-12-2016. Wielkość kwoty refundacji i ilość zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN, narastająco od stycznia do września 2016 r.
- [43] Komunikat DGL z 21-06-2016. Wielkość kwoty refundacji i ilość zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN, narastająco od stycznia do grudnia 2015 r. <http://nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6879.html>
- [44] Center for the Evaluation of Value and Risk in Health. The Cost-Effectiveness Analysis Registry [Internet]. (Boston), Institute for Clinical Research and Health Policy Studies, Tufts Medical Center. Available from: www.cearegistry.org (ostatnia aktualizacja: styczeń 2017)
- [45] Informacje o zawartych umowach przez Wojewódzkie Oddziały NFZ w 2017 roku, aplikacje.nfz.gov.pl/umowy (styczeń 2017).
- [46] Załącznik nr 5a do zarządzenia Nr 62/2016/DSOZ Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna. www.nfz.gov.pl
- [47] Katalog zakresów ambulatoryjnych świadczeń diagnostycznych kosztochłonnych (ASDK). Załącznik nr 1b do zarządzenia Nr 62/2016/DSOZ Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna. www.nfz.gov.pl
- [48] Katalog diagnostycznych pakietów onkologicznych. Załącznik nr 5c do zarządzenia Nr 62/2016/DSOZ Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna. www.nfz.gov.pl
- [49] Charakterystyka grup ambulatoryjnych świadczeń specjalistycznych. Załącznik nr 7 do zarządzenia Nr 62/2016/DSOZ Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna. www.nfz.gov.pl
- [50] Katalog świadczeń podstawowych - leczenie szpitalne – chemioterapia. Załączniki nr 1 do zarządzenia nr 75/2016/DGL Prezesa NFZ. www.nfz.gov.pl

- [51] Katalog świadczeń wspomagających - leczenie szpitalne – chemioterapia. Załączniki nr 1 do zarządzenia nr 91/2016/DGL Prezesa NFZ. www.nfz.gov.pl
- [52] Katalog grup. Załącznik nr 1 do zarządzenia nr 1/2017/DSOZ Prezesa NFZ. www.nfz.gov.pl
- [53] Katalog produktów do sumowania. Załącznik nr 3 do zarządzenia nr 129/2016/DSOZ Prezesa NFZ www.nfz.gov.pl
- [54] Katalog produktów odrębnych. Załącznik nr 2 do zarządzenia nr 129/2016/DSOZ Prezesa NFZ www.nfz.gov.pl
- [55] Charakterystyka JGP. Załącznik nr7 do zarządzenia nr 129/2016/DSOZ Prezesa NFZ www.nfz.gov.pl
- [56] Di Stasi SM, Giannantoni A, Stephen RL, Capelli G, Navarra P, Massoud R, Vespasiani G. Intravesical electromotive mitomycin C versus passive transport mitomycin C for high risk superficial bladder cancer: a prospective randomized study. *J Urol.* 2003 Sep;170(3):777-82.
- [57] Rintala E, Jauhiainen K, Alfthan O, Hansson E, Juusela H, Kanerva K, Korhonen H, Permi J, Sotarauta M, Vaalasti T, et al. Intravesical chemotherapy (mitomycin C) versus immunotherapy (bacillus Calmette-Guérin) in superficial bladder cancer. *Eur Urol.* 1991;20(1):19-25.
- [58] Malmström PU, Wijkström H, Lundholm C, Wester K, Busch C, Norlén BJ. 5-year followup of a randomized prospective study comparing mitomycin C and bacillus Calmette-Guerin in patients with superficial bladder carcinoma. Swedish-Norwegian Bladder Cancer Study Group. *J Urol.* 1999 Apr;161(4):1124-7.
- [59] Lundholm C, Norlén BJ, Ekman P, Jahnson S, Lagerkvist M, Lindeborg T, Olsson JL, Tveter K, Wijkstrom H, Westberg R, Malmström PU. A randomized prospective study comparing long-term intravesical instillations of mitomycin C and bacillus Calmette-Guerin in patients with superficial bladder carcinoma. *J Urol.* 1996 Aug;156(2 Pt 1):372-6.
- [60] Edwards SJ, Barton S, Thurgar E, Trevor N. Topotecan, pegylated liposomal doxorubicin hydrochloride, paclitaxel, trabectedin and gemcitabine for advanced recurrent or refractory ovarian cancer: a systematic review and economic evaluation. *Health Technol Assess* 2015;19(7). http://www.journalslibrary.nihr.ac.uk/__data/assets/pdf_file/0013/134203/FullReport-hta19070.pdf
- [61] Neyt M, Chalou PX. Search MEDLINE for economic evaluations: tips to translate an OVID strategy into a PubMed one. *Pharmacoeconomics.* 2013 Dec;31(12):1087-90.
- [62] Glanville J, Kaunelis D, Mensinkai S. How well do search filters perform in identifying economic evaluations in MEDLINE and EMBASE. *Int J Technol Assess Health Care.* 2009 Oct;25(4):522-9.
- [63] McKinlay RJ, Wilczynski NL, Haynes RB; Hedges Team. Optimal search strategies for detecting cost and economic studies in EMBASE. *BMC Health Serv Res.* 2006 Jun 6;6:67.
- [64] Ojea A, Nogueira JL, Solsona E, Flores N, Gómez JM, Molina JR, Chantada V, Camacho JE, Piñeiro LM, Rodríguez RH, Isorna S, Blas M, Martínez-Piñeiro JA, Madero R; CUETO Group (Club Urológico Español De Tratamiento Oncológico). A multicentre, randomised prospective trial comparing three intravesical adjuvant therapies for intermediate-risk superficial bladder cancer: low-dose bacillus Calmette-Guerin (27 mg) versus very low-dose bacillus Calmette-Guerin (13.5 mg) versus mitomycin C. *Eur Urol.* 2007 Nov;52(5):1398-406.
- [65] Lamm DL, Blumenstein BA, David Crawford E, Crissman JD, Lowe BA, Smith JA Jr, Sarosdy MF, Schellhammer PF, Sagalowsky AI, Messing EM, Loehrer P, Barton Grossman H. Randomized intergroup comparison of bacillus calmette-guerin immunotherapy and mitomycin C chemotherapy prophylaxis in superficial transitional cell carcinoma of the bladder: a southwest oncology group study. *Urol Oncol.* 1995 May-Jun;1(3):119-26.
- [66] Charakterystyka produktu leczniczego BCG-medac. Materiał przekazany przez Zamawiającego. Data on file.
- [67] Ankieta uzyskana od eksperta w ramach wstępnego badania kwestionariuszowego. Data on file.
- [68] Ankiety uzyskane od 4 ekspertów w ramach zasadniczego badania kwestionariuszowego. Data on file.
- [69] Gruenwald IE, Stein A, Rashcovitsky R, Shifroni G, Lurie A. A 12 versus 6-week course of bacillus Calmette-Guerin prophylaxis for the treatment of high risk superficial bladder cancer. *J Urol.* 1997 Feb;157(2):487-91.
- [70] Akaza H, Hinotsu S, Aso Y, Kakizoe T, Koiso K. Bacillus Calmette-Guérin treatment of existing papillary bladder cancer and carcinoma in situ of the bladder. Four-year results. The Bladder Cancer BCG Study Group. *Cancer.* 1995 Jan 15;75(2):552-9.
- [71] Hinotsu S, Akaza H, Naito S, Ozono S, Sumiyoshi Y, Noguchi S, Yamaguchi A, Nagamori S, Terai A, Nasu Y, Kume H, Tomita Y, Tanaka Y, Samma S, Uemura H, Koga H, Tsushima T. Maintenance therapy with bacillus Calmette-Guérin Connaught strain clearly prolongs recurrence-free survival following transurethral resection of bladder tumour for non-muscle-invasive bladder cancer. *BJU Int.* 2011 Jul;108(2):187-95.
- [72] Hudson MA, Ratliff TL, Gillen DP, Haaff EO, Dresner SM, Catalona WJ. Single course versus maintenance bacillus Calmette-Guerin therapy for superficial bladder tumors: a prospective, randomized trial. *J Urol.* 1987 Aug;138(2):295-8.
- [73] Martínez-Piñeiro L, Portillo JA, Fernández JM, Zabala JA, Cadierno I, Moyano JL, Solsona E, Unda M, Beardo P, Rodríguez-Molina J, Chantada V, Palou J, Muntañola P, Alonso Dorrego JM, Pérez-García FJ, Silva JM, Chesa N, Montesinos M, Ojea A, Madero R, Martínez-Piñeiro JA. Maintenance Therapy with 3-monthly Bacillus Calmette-Guérin for 3 Years is Not Superior to Standard Induction Therapy in High-risk Non-muscle-invasive Urothelial Bladder Carcinoma: Final Results of Randomised CUETO Study 98013. *Eur Urol.* 2015 Aug;68(2):256-62.

- [74] Badalament RA, Herr HW, Wong GY, Gnecco C, Pinsky CM, Whitmore WF Jr, Fair WR, Oettgen HF. A prospective randomized trial of maintenance versus nonmaintenance intravesical bacillus Calmette-Guérin therapy of superficial bladder cancer. *J Clin Oncol.* 1987 Mar;5(3):441-9.
- [75] Koga H, Ozono S, Tsushima T, Tomita K, Horiguchi Y, Usami M, Hirao Y, Akaza H, Naito S; BCG Tokyo Strain Study Group.. Maintenance intravesical bacillus Calmette-Guérin instillation for Ta, T1 cancer and carcinoma in situ of the bladder: randomized controlled trial by the BCG Tokyo Strain Study Group. *Int J Urol.* 2010 Sep;17(9):759-66.
- [76] Lamm DL, Blumenstein BA, Crissman JD, Montie JE, Gottesman JE, Lowe BA, Sarosdy MF, Bohl RD, Grossman HB, Beck TM, Leimert JT, Crawford ED. Maintenance bacillus Calmette-Guerin immunotherapy for recurrent TA, T1 and carcinoma in situ transitional cell carcinoma of the bladder: a randomized Southwest Oncology Group Study. *J Urol.* 2000 Apr;163(4):1124-9.
- [77] Palou J, Laguna P, Millán-Rodríguez F, Hall RR, Salvador-Bayarri J, Vicente-Rodríguez J. Control group and maintenance treatment with bacillus Calmette-Guerin for carcinoma in situ and/or high grade bladder tumors. *J Urol.* 2001 May;165(5):1488-91.
- [78] Krege S, Giani G, Meyer R, Otto T, Rübber H. A randomized multicenter trial of adjuvant therapy in superficial bladder cancer: transurethral resection only versus transurethral resection plus mitomycin C versus transurethral resection plus bacillus Calmette-Guerin. *Participating Clinics. J Urol.* 1996 Sep;156(3):962-6.
- [79] Lamm DL. Bacillus Calmette-Guerin immunotherapy for bladder cancer. *J Urol.* 1985 Jul;134(1):40-7.
- [80] Pagano F, Bassi P, Milani C, Meneghini A, Maruzzi D, Garbeglio A. A low dose bacillus Calmette-Guerin regimen in superficial bladder cancer therapy: is it effective? *J Urol.* 1991 Jul;146(1):32-5.
- [81] Pinsky CM, Camacho FJ, Kerr D, Geller NL, Klein FA, Herr HA, Whitmore WF Jr, Oettgen HF. Intravesical administration of bacillus Calmette-Guérin in patients with recurrent superficial carcinoma of the urinary bladder: report of a prospective, randomized trial. *Cancer Treat Rep.* 1985 Jan;69(1):47-53.
- [82] Herr HW, Schwalb DM, Zhang ZF, Sogani PC, Fair WR, Whitmore WF Jr, Oettgen HF. Intravesical bacillus Calmette-Guérin therapy prevents tumor progression and death from superficial bladder cancer: ten-year follow-up of a prospective randomized trial. *J Clin Oncol.* 1995 Jun;13(6):1404-8.
- [83] Melekos MD. Intravesical Bacillus Calmette-Guérin prophylactic treatment for superficial bladder tumors: results of a controlled prospective study. *Urol Int.* 1990;45(3):137-41.
- [84] Yamamoto T, Hagiwara M, Nakazono M, Yamamoto H. [Intravesical bacillus Calmette-Guerin (BCG) in the treatment of superficial bladder cancer. Prospective randomized study for prophylactic effect]. *Nihon Hinyokika Gakkai Zasshi.* 1990 Jul;81(7):997-1001. Japanese.
- [85] D'Ancona CA, Netto Júnior NR, Claro JA, Ikari O. Oral or intravesical bacillus Calmette-Guerin immunoprophylaxis in bladder carcinoma. *J Urol.* 1991 Mar;145(3):498-501.
- [86] Ibrahim EH, Ghoneim MA, Nigam V, Brailovsky C, Elhilali MM. Prophylactic maltose tetrapalmitate and bacillus Calmette-Guerin immunotherapy of recurrent superficial bladder tumors: preliminary report. *J Urol.* 1988 Sep;140(3):498-500.
- [87] Melekos MD, Chionis H, Pantazakos A, Fokaefs E, Paranychianakis G, Dauaher H. Intravesical bacillus Calmette-Guerin immunoprophylaxis of superficial bladder cancer: results of a controlled prospective trial with modified treatment schedule. *J Urol.* 1993 Apr;149(4):744-8.
- [88] Kulkarni GS, Finelli A, Fleshner NE, Jewett MAS, Lopushinsky SR, et al. (2007) Optimal management of high-risk T1G3 bladder cancer: A decision analysis. *PLoS Med* 4(9): e284. doi:10.1371/journal.pmed.0040284
- [89] Kulkarni GS, Alibhai SM, Finelli A, Fleshner NE, Jewett MA, Lopushinsky SR, Bayoumi AM. Cost-effectiveness analysis of immediate radical cystectomy versus intravesical Bacillus Calmette-Guerin therapy for high-risk, high-grade (T1G3) bladder cancer. *Cancer.* 2009 Dec 1;115(23):5450-9. doi: 10.1002/cncr.24634.
- [90] Analiza weryfikacyjna AOTMiT nr AOTM-OT-4351-10/2015 dla produktu Hexvix. 15 maja 2015 roku. www.aotmit.gov.pl
- [91] Schmidt S, Francés A, Lorente Garin JA, Juanpere N, Lloreta Trull J, Bonfill X, Martínez-Zapata MJ, Morales Suarez-Varela M, de la Cruz J, Emparanza JI, Sánchez MJ, Zamora J, Pijoan JI, Alonso J, Ferrer M. Quality of life in patients with non-muscle-invasive bladder cancer: one-year results of a multicentre prospective cohort study. *Urol Oncol.* 2015 Jan;33(1):19.e7-15.
- [92] Yoshimura K, Utsunomiya N, Ichioka K, Matsui Y, Terai A, Arai Y. Impact of superficial bladder cancer and transurethral resection on general health-related quality of life: an SF-36 survey. *Urology.* 2005 Feb;65(2):290-4.
- [93] Matsuda T, Aptel I, Exbrayat C, Grosclaude P. Determinants of quality of life of bladder cancer survivors five years after treatment in France. *Int J Urol.* 2003 Aug;10(8):423-9.
- [94] Sapre N., Wooten A., Siddons H., Costello A.J., Hovens C.M., Corcoran N.M., Anderson P. Tumour recurrence and intravesical BCG significantly impact upon health related quality of life in patients undergoing conservative management for superficial bladder cancer. *Eur Urol Suppl* 2013;12:e704
- [95] Al Hussein Al Awamh B, Lee R, Chughtai B, Donat SM, Sandhu JS, Herr HW. A cost-effectiveness analysis of management of low-risk non-muscle-invasive bladder cancer using office-based fulguration. *Urology.* 2015 Feb;85(2):381-6.

- [96] Green DA, Rink M, Cha EK, Xylinas E, Chughtai B, Scherr DS, Shariat SF, Lee RK. Cost-effective treatment of low-risk carcinoma not invading bladder muscle. *BJU Int.* 2013 Mar;111(3 Pt B):E78-84.
- [97] Golicki D, Niewada M. General population reference values for 3-level EQ-5D (EQ-5D-3L) questionnaire in Poland. *Pol Arch Med Wewn.* 2015 Feb 27;125(1-2):18-26
- [98] Malmström PU, Sylvester RJ, Crawford DE, Friedrich M, Krege S, Rintala E, Solsona E, Di Stasi SM, Witjes JA. An individual patient data meta-analysis of the long-term outcome of randomised studies comparing intravesical mitomycin C versus bacillus Calmette-Guérin for non-muscle-invasive bladder cancer. *Eur Urol.* 2009 Aug;56(2):247-56. doi: 10.1016/j.eururo.2009.04.038.
- [99] Portal Statystyka JGP. Dane z 2015 roku. <https://prog.nfz.gov.pl/app-jgp/KatalogJGP.aspx>.
- [100] von der Maase H, Hansen SW, Roberts JT, Dogliotti L, Oliver T, Moore MJ, Bodrogi I, Albers P, Knuth A, Lippert CM, Kerbrat P, Sanchez Rovira P, Wersall P, Cleall SP, Roychowdhury DF, Tomlin I, Visseren-Grul CM, Conte PF. Gemcitabine and cisplatin versus methotrexate, vinblastine, doxorubicin, and cisplatin in advanced or metastatic bladder cancer: results of a large, randomized, multinational, multicenter, phase III study. *J Clin Oncol.* 2000 Sep;18(17):3068-77.
- [101] Torre LA, Bray F, Siegel RL, Ferlay J, Lortet-Tieulent J, Jemal A. Global cancer statistics, 2012. *CA Cancer J Clin.* 2015 Mar;65(2):87-108. doi:10.3322/caac.21262.
- [102] Sławomir Poletajew, Aleksandra Majek, Piotr Magusiak, Katarzyna Śledzikowska, Bartosz Dybowski, Piotr Radziszewski. Availability and patterns of intravesical BCG instillations – Polish national analysis. Manuskrypt wysłany do redakcji. Data on file.
- [103] Poletajew S, Biernacki R, Buraczynski P, Chojnacki J, Czarniecki S, Gajewska D, Pohaba T, Sondka J, Skrzypczyk M, Suchojad T, Wojtkowiak D, Zaforemski B, Zapala L, Zemla A, Radziszewski P. Stage of bladder cancer in Central Europe - Polish perspective. *Neoplasma.* 2016;63(4):642-7.
- [104] Wojciechowska Urszula, Didkowska Joanna. Zachorowania i zgony na nowotwory złośliwe w Polsce. Krajowy Rejestr Nowotworów, Centrum Onkologii - Instytut im. Marii Skłodowskiej - Curie. Dostępne na stronie <http://onkologia.org.pl/raporty/> dostęp z dnia dzień/miesiąc/rok.
- [105] Poletajew S, Braticevici B, Brisuda A, Cauni V, Grygorenko V, Lesnyak MZ, Lisiński J, Persu C, Renk K, Radziszewski P. Timing of radical cystectomy in Central Europe - multicenter study on factors influencing the time from diagnosis to radical treatment of bladder cancer patients. *Cent European J Urol.* 2015;68(1):9-14.
- [106] Poletajew S, Lisiński J, Moskal K, Ornat J, Renk K, Szlaga M, Tworkiewicz J, Wojtkowiak D, Wołyniec P, Woźniak K, Zapala Ł, Radziszewski P. The time from diagnosis of bladder cancer to radical cystectomy in Polish urological centres - results of CysTiming Poland study. *Cent European J Urol.* 2014;67(4):329-32.
- [107] Grzegórkowski P, Kaczmarek K, Lemiński A, Soczawa M, Golab A, Słojewski M. Assessment of the infiltrative character of bladder cancer at the time of transurethral resection: a single center study. *Cent European J Urol.* doi: 10.5173/cej.2016.768 [Epub ahead of print]
- [108] Dybowski B, Ossoliński K, Ossolińska A, Peller M, Bres-Niewada E, Radziszewski P. Impact of stage and comorbidities on five-year survival after radical cystectomy in Poland: single centre experience. *Cent European J Urol.* 2015; 68: 278-283.
- [109] EAU. Non-muscle-invasive Bladder Cancer 2016. <https://uroweb.org/guideline/non-muscle-invasive-bladder-cancer>
- [110] Borkowska EM, Jędrzejczyk A, Marks P, Catto JW, Kałużewski B. EORTC risk tables - their usefulness in the assessment of recurrence and progression risk in non-muscle-invasive bladder cancer in Polish patients. *Cent European J Urol.* 2013;66(1):14-20.
- [111] Skrzypczyk M, Grothuss G, Dobruch J. Rak pęcherza moczowego w Polsce. *Postępy Nauk Medycznych.* 2012; (4):311–319
- [112] dr n. med. Anna Koper. Stanowisko Konsultanta krajowego ds. pielęgniarstwa onkologicznego w sprawie bezpieczeństwa przygotowywania i podawania produktów leczniczych zawierających BCG. Dane uzyskane od Zamawiającego.
- [113] Charakterystyka produktu leczniczego Onko BCG. <http://chpl.com.pl/>
- [114] Analiza ekonomiczna dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, styczeń 2017 roku.

13. SPIS TABEL I RYSUNKÓW

Tabela 1. Ocena zasadności kwalifikacji BCG-medac® do nowej, osobnej grupy limitowej.	13
Tabela 2. Oceniana technologia i sugerowany sposób jej finansowania.	13
Tabela 3. Struktura istniejącej praktyki klinicznej na podstawie wyników badania ankietowego [68].	17
Tabela 4. Uwzględniona w opracowaniu struktura istniejącej praktyki klinicznej.	18
Tabela 5. Zestawienie założeń porównywanych scenariuszy.	20
Tabela 6. Struktura grup ryzyka [109].	22
Tabela 7. Dane NFZ dotyczące liczby chorych na raka pęcherza w Polsce [90].	23
Tabela 8. Dodatkowe parametry oceny liczebności populacji docelowej.	25
Tabela 9. Prawdopodobieństwo kolejnej kwalifikacji do immunoterapii BCG. Na podstawie modelu Analizy ekonomicznej (arkusz „Model AE”) [114].	27
Tabela 10. Uwzględnione parametry oceny liczebności docelowej.	28
Tabela 11. Liczebność populacji docelowej w zależności od grupy ryzyka. Wariant prawdopodobny.	29
Tabela 12. Liczebność populacji docelowej w zależności od interwencji. Wariant prawdopodobny.	29
Tabela 13. Podsumowanie wielkości populacji pacjentów, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej. W nawiasach podano wyniki skrajnych scenariuszy: minimalnego i maksymalnego; wartości zaokrąglone.	30
Tabela 14. Wyniki modelowania uwzględnione w opracowaniu [114].	31
Tabela 15. Wartości parametrów dotyczących kosztów uwzględnionych w opracowaniu.	32
Tabela 16. Charakterystyka wariantów wielkości populacji docelowej uwzględnionych w ramach analizy podstawowej.	34
Tabela 17. Wykaz wszystkich parametrów analizy wpływu na budżet – parametry wspólne wariantów oceny wielkości populacji.	34
Tabela 18. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.	36
Tabela 19. Aktualne wydatki. Dane dla 2017 roku.	38
Tabela 20. Wyniki wariantu najbardziej prawdopodobnego analizy wpływu na budżet. Wyniki w PLN.	40
Tabela 21. Wyniki wariantu minimalnego analizy wpływu na budżet. Wyniki w PLN.	42
Tabela 22. Wyniki wariantu maksymalnego analizy wpływu na budżet. Wyniki w PLN.	44
Tabela 23. Wyniki analizy wrażliwości.	46
Tabela 24. Zużycie zasobów medycznych mających najwyższy wpływ na inkrementalne wyniki analizy.	52
Tabela 25. Analiza SWOT.	55
Tabela 26. Ocena zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań oraz ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTMiT.	64
Rysunek 1. Ekstrapolacja rocznej liczby pacjentów z rakiem pęcherza moczowego, u których przeprowadzana jest resekcja przezcewkowa.	24
Rysunek 2. Ekstrapolacja liczby zachorowań na raka pęcherza moczowego w Polsce [104].	25

14. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY

Tabela 26. Ocena zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań oraz ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTMIT.

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
Część I. Pytania związane z oceną spełnienia minimalnych wymagań				
§ 2.	Czy informacje zawarte w analizie wpływu na budżet są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały: 2.4. – 2.8.	Data odcięcia: 17 sty 2017 roku; część informacji przedstawiono w Analizie ekonomicznej
	Czy informacje w zakresie cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały: 2.1. i 2.7.	Aktualne Obwieszczenie Ministra Zdrowia (na 1 sty 2017 roku)
	Czy informacje w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały 2.6. i 2.8.	Aktualny przegląd systematyczny
	Czy przedstawiane w analizie wyniki przeglądów systematycznych (użyteczności, konwergencji wyników, itp.) są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdział 8.	szczegóły w Analizie ekonomicznej
§ 6. ust 1.	Czy analiza wpływu na budżet zawiera:			
pkt 1 lit a	<ul style="list-style-type: none"> oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana lub komentarz stwierdzający zgodność wskazanej populacji z populacją z pkt 1 lit b? 	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.2.	-
pkt 1 lit b	<ul style="list-style-type: none"> oszacowanie rocznej liczebności populacji docelowej, wskazanej we wniosku? 	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.2.	-
pkt 1 lit c	<ul style="list-style-type: none"> oszacowanie rocznej liczebności populacji w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana? 	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.2.	-
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy? 	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.2.	-
§ 6. ust 1. pkt 1 i 2	<ul style="list-style-type: none"> tabelkę ze wskazaniem rocznej liczebności populacji o której mowa w § 6. ust 1. pkt 1 i 2 rozporządzenia (informacje dla każdego roku horyzontu czasowego w tym zakresie) 	TAK	Tabela 13.	-
pkt 3	<ul style="list-style-type: none"> oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów <u>w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje? 	TAK	Rozdział 3.1.	-

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
pkt 4	<ul style="list-style-type: none"> ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów <u>w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <u>nie wyda decyzji o objęciu refundacją</u>, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy? 	TAK	Rozdział 3.2.	Prognoza opisana jako „scenariusz istniejący” lub <i>status quo</i>
	<ul style="list-style-type: none"> wyszczególnienie składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii ww. prognozy? 	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 5	<ul style="list-style-type: none"> ilościową prognozę 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 <u>wyda decyzję o objęciu refundacją</u>, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy? 	TAK	Rozdział 3.2.	Prognoza opisana jako „nowy scenariusz”; założono pozytywną decyzję w ramach tego scenariusza
	<ul style="list-style-type: none"> wyszczególnienie składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii ww. prognozy? 	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 6	<ul style="list-style-type: none"> oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 (<u>różnica w całkowitych wydatkach na pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>)? 	TAK	Rozdział 3.2.	-
	<ul style="list-style-type: none"> oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych związanych z refundacją ceny wnioskowanej technologii (<u>różnicę w wydatkach na refundację ceny wnioskowanej technologii</u>)? 	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 7	<ul style="list-style-type: none"> <u>minimalny i maksymalny wariant oszacowania</u>, o którym mowa w pkt 6 – różnica pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 (<u>różnicy w całkowitych wydatkach na pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>)? 	TAK	Rozdziały 3.3. i 3.4.	-
	<ul style="list-style-type: none"> <u>minimalny i maksymalny wariant oszacowania</u>, o którym mowa w pkt 6 – różnica pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 w zakresie wydatków dotyczących refundacji ceny wnioskowanej technologii (<u>różnicy w wydatkach na refundację ceny wnioskowanej technologii</u>)? 	TAK	Rozdziały 3.3. i 3.4.	-
pkt 8	<ul style="list-style-type: none"> zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie, których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognoz, o których mowa w pkt 4 i 5; 	TAK	Rozdziały 2. i 3., podsumowanie w tabeli 16. i 17.	Szczegóły dotyczące danych wejściowych w analizie ekonomicznej

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
pkt 9	<ul style="list-style-type: none"> wyszczególnienie założeń, na podstawie, których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognoz, o których mowa w pkt 4 i 5? 	TAK	Rozdział 2., podsumowanie w rozdziale 2.9.	Część informacji przedstawiona w analizie ekonomicznej (nie duplikowano przedstawionych informacji)
	<ul style="list-style-type: none"> wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu? 	TAK	Rozdział 2.1.	-
pkt 10	<ul style="list-style-type: none"> dokument elektroniczny, umożliwiający <u>powtórzenie</u> wszystkich kalkulacji, w wyniku, których uzyskano oszacowania, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w pkt 4 i 5. oraz komentarz w raporcie stwierdzający obecność takiego dokumentu? 	TAK	Mowa o nim m.in. w rozdziale 2.5.	-
§ 6. ust 2.	Czy przeprowadzone oszacowania przeprowadzono w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 3. pkt 4.	Czy przeprowadzone oszacowania obejmują przewidywany przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku od zajścia zmiany wynikającej z wydania przez ministra właściwego do spraw zdrowia decyzji o objęciu refundacją?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 3. pkt 4.	Czy przeprowadzone oszacowania obejmują przewidywany przedział czasu nie krótszy niż 2 lata?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 6. ust 3.	Czy szacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonano na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-
	Czy jeżeli nie było możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet zawiera <u>dotatkowy wariant</u> , w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane?	Nie dotyczy	Rozdział 2.5.	-
§ 6. ust 1.	Czy opisano metody analizy w zakresie: rodzaju parametrów epidemiologicznych określających wielkość populacji (zapadalność vs. rozpowszechnienie), okresu generowania wyników zdrowotnych i kosztów (np. przesunięcie w czasie wynikające z takiego samego prawdopodobieństwa włączenia do obserwacji pacjentów), estymacji wyników BIA z uwzględnieniem wyników analizy ekonomicznej (wyniki w ujęciu populacyjnym na podstawie wyników modelowania kohortowego), jeżeli dotyczy?	TAK	Rozdziały 2.5., 2.6. i 2.8.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 1-2 (wielkość populacji), przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	<ul style="list-style-type: none"> z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka? 	TAK	Rozdział 2.5.	
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka? 	Nie dotyczy	Rozdział 2.7.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 3 (aktualne wydatki), przedstawiono w następujących wariantach:			

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
pkt 1	• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.1.	-
pkt 2	• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	Nie dotyczy	Rozdział 2.7.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5 (całkowite wydatki dla porównywanych prognoz) przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 2	• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	Nie dotyczy	Rozdział 2.7.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 6 i 7 (różnice w całkowitych wydatkach, różnice w wydatkach na refundację wnioskowanej technologii – wariant średni, minimalny, maksymalny) przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdziały 3.2. – 3.5.	-
pkt 2	• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	Nie dotyczy	Rozdział 2.7.	-
§ 6. ust 5.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy?	TAK	Rozdział 2.1.	-
§ 6. ust 6.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust. 2 i wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy.	TAK	Rozdział 2.1.	-
§ 3. pkt 7 i 9	Czy obliczenia przedstawione w analizie wpływu na budżet uwzględniają procedury medyczne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym, we wnioskowanym wskazaniu, zgodnie ze stanem faktycznym w dniu złożenia wniosku lub komentarz argumentujący brak takich procedur?	TAK	Rozdział 2.4.	-
§ 3. pkt 7 i 9	Czy obliczenia przedstawione w analizie wpływu na budżet uwzględniają refundowane na terenie Polski procedury medyczne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym, we wnioskowanym wskazaniu, zgodnie ze stanem faktycznym w dniu złożenia wniosku lub komentarz argumentujący brak takich procedur?	TAK	Rozdział 2.4.	-
§ 8.	Czy analiza zawiera:			
pkt 1	• dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji?	TAK	Rozdział 12.	-
pkt 2	• wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii?	TAK	Rozdział 2, [67], [68]	Szczegóły na temat badania ankietowego w analizie ekonomicznej
Część II. Ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTM (wypełnia audytor/koordynator)				

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
AWA	Czy założenia dotyczące liczebności populacji pacjentów, w której będzie stosowany i finansowany wnioskowany lek zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
AWA	Czy uzasadniono wybór horyzontu czasowego?	TAK	Rozdział 2.3.	-
AWA	Czy założenia dotyczące leków obecnie stosowanych w danym wskazaniu i ich finansowania (ceny, limity, poziom odpłatności) i innych uwzględnionych świadczeń (wycena punktowa i wartość punktów) są zgodne ze stanem na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.7.	Szczegóły przedstawiono w analizie ekonomicznej;
AWA	Czy założenia dotyczące zmian w analizowanym rynku leków zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.5.2.	-
AWA	Czy założenia dotyczące struktury i zmian w analizowanym rynku leków są zgodne z założeniami dotyczącymi komparatorów przyjętymi w analizach klinicznej i ekonomicznej?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.5.2.	-
AWA	Czy twierdzenia i założenia dotyczące aktualnej i przyszłej sprzedaży wnioskowanego leku są spójne z danymi udostępnionymi przez NFZ?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
AWA	Czy twierdzenia i założenia dotyczące przyszłej sprzedaży leku są spójne z danymi z wniosku?	TAK	Rozdział 2.5.2.; 4.	-
AWA	Czy założenie dotyczące poziomu odpłatności wnioskowanego leku spełnia kryteria art. 14 ustawy o refundacji?	TAK	Rozdział 2.1.	-
AWA	Czy założenie dotyczące kwalifikacji wnioskowanego leku do grupy limitowej zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdział 2.1.	-
AWA	Czy dokonano oceny niepewności uzyskiwanych oszacowań?	TAK	Rozdziały 2.9. i 3.3.-3.5..	Analiza wartości skrajnych + analiza wrażliwości
AWA	Czy nie pominięto żadnej istotnej dla oceny wpływu na budżet kategorii kosztów?	TAK	Rozdziały 2.7. i 3.5.	Szczegóły w analizie ekonomicznej
AWA	Czy uzasadniono prognozę przekroczenia całkowitego budżetu na refundację i udziału podmiotu w kwocie przekroczenia?	Nie dotyczy	Rozdział 3.	-
AWA	Czy nie stwierdzono innych błędów w podejściu analitycznym wnioskodawcy, obniżających wiarygodność przedstawionej analizy?	TAK	-	Nie stwierdzono
AWA	Czy nie stwierdzono błędów w obliczeniach lub ekstrakcji danych, które wpłynęły na wyniki oszacowań?	TAK	-	Nie stwierdzono
Część III. Dodatkowe pytania związane z oceną analizy opracowane m.in. na podstawie Wytycznych AOTM (wypełnia audytor/koordynator)				
5.1.1. W.AOTM	Czy zdefiniowano charakter populacji (otwarta/zamknięta) i czy przedstawiono kryteria włączenia i wyłączenia poszczególnych pacjentów z analizy wpływu na budżet (generowania raportowanych kosztów i efektów)?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
5.1.1. W.AOTM	Czy w przypadku współpłacenia przedstawiono koszty ponoszone przez pacjenta, ich wartości średnie, a w uzasadnionych przypadkach także zakres?	Nie dotyczy	Rozdział 2.2.	-
5.1.1. W.AOTM	Czy analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy świadczeniobiorcy lub przedstawiono komentarz argumentujący brak tej perspektywy?	TAK	Rozdział 2.2.	-
5.1.2. W.AOTM	Czy uwzględniono horyzont czasowy wystarczający do ustalenia równowagi na rynku lub obejmujący co najmniej pierwsze 2 lata (tj. 24 miesiące) od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych?	TAK	Rozdział 2.3.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy zdefiniowano punkt początkowy analizy wpływu na budżet i czy przedstawiono wyniki oceny wpływu wnioskowanej technologii na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej (podział horyzontu czasowego na okresy związane z planowanym budżetem płatnika publicznego)?	TAK	Rozdział 2.3.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy przeprowadzono analizę wrażliwości?	TAK	Rozdział 2.9.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy uwzględniono scenariusz przedstawiający aktualną praktykę („scenariusz istniejący”) oraz scenariusz przewidywany po wprowadzeniu nowej/usunięciu obecnie refundowanej technologii („scenariusz nowy”), koszty ww. scenariuszy oraz wyniki inkrementalne?	TAK	Rozdział 2.4.	-
5.1.4. W.AOTM	Czy uwzględniono źródła danych zgodne z opisem przedstawionym w rozdziale 5.1.4. Wytucznych oraz czy przedstawiono sposób ich wyszukiwania?	TAK	Rozdział 2.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy wzięto pod uwagę możliwe zwiększenie liczebności populacji indukowane dostępnością nowej technologii na rynku?	TAK	Rozdziały 2.4., 2.5.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy liczebność populacji oceniono poprzez: (1) określenie rozpowszechnienia rozważanego stanu chorobowego, (2) oszacowanie liczby osób, dla których istniałyby wskazania do zastosowania technologii, (3) oszacowanie pozycji rynkowej technologii w poszczególnych wskazaniach na podstawie spodziewanego odsetka populacji, który będzie używać rozważanej technologii, w zestawieniu z częścią populacji, która będzie używać technologii opcjonalnych w danym wskazaniu?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy skonstruowano alternatywne warianty do oceny liczebności populacji?	TAK	Rozdział 2.5.2.1.	-
5.1.6. W.AOTM	Czy opisano i uzasadniono założenia dotyczące „scenariusza istniejącego” oraz „scenariusza nowego”?	TAK	Rozdział 2.4.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy zostało przeanalizowane stwierdzenie, że skalkulowane wydatki będą zauważalne w rzeczywistej praktyce?	TAK	Rozdział 3.5. i 10.	-

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
5.1.7. W.AOTM	Czy przedstawiono wyniki oceny zużycia poszczególnych świadczeń medycznych uwzględnionych w analizie?	TAK	Rozdział 3. i 4.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy nie uwzględniono dyskontowania wraz z komentarzem uzasadniającym to podejście?	TAK	Str. 32.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy w ocenie kosztów całkowitych uwzględniono: wydatki związane z ocenianą technologią, koszt dodatkowych nakładów w systemie ochrony zdrowia związanych z wdrożeniem ocenianej technologii, zmniejszenie nakładów związanych ze zmniejszonym stosowaniem dotychczasowych technologii w przypadku przejścia na ocenianą technologię, zmniejszenie kosztów związanych z oszczędnościami w zakresie innych świadczeń (np. redukcją hospitalizacji)?	TAK	Rozdziały 2.6., 2.7.	
- W.AOTM	Czy przedstawiono komentarz związany z opisem warunków wprowadzenia wnioskowanej technologii i związanych z tym kosztów (potrzeba przeszkolenia personelu, opracowania nowych wytycznych klinicznych bądź zmiany zasad diagnostyki)?	TAK	Rozdział 6.	-
- W.AOTM	Czy przedstawiono wpływ rozważanej decyzji na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych (wydatki publiczne w sektorach innych niż ochrona zdrowia)?	TAK	Rozdział 6.	-
Czy przeanalizowano aspekty etyczne i społeczne rozważanej decyzji, w zakresie:				
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> kosztów lub wyników zdrowotnych dotyczących osób innych niż w stanie klinicznym wskazanym we wniosku (wpływy zewnętrzne)? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> faworyzowania niektórych grup pacjentów na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> równego dostępu do wnioskowanej technologii przy jednakowych potrzebach? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> zakresu korzyści w odniesieniu do wielkości populacji (duża korzyść dla wąskiej grupy osób; korzyść mała, ale powszechna)? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> niezaspokojonych dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> odpowiedzi dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> generowania problemów społecznych (tj. poziomu satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej, akceptacji postępowania przez poszczególnych chorych, stygmatyzacji, lęku, dylematów moralnych, problemów dotyczących płci, problemów rodzinnych) 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> braku sprzeczności rozważanej decyzji z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi? 	TAK	Rozdział 7.	-

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> konieczności dokonania zmian w prawie/przepisach w wyniku podjęcia rozważanej decyzji? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> oddziaływania rozważanej decyzji na prawa pacjenta lub prawa człowieka? 	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> szczególnego podejścia do pacjenta, tj. konieczności szczególnego informowania pacjenta/opiekuna, potrzeby zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych oraz potrzeby uwzględniania indywidualnych preferencji, po przedstawieniu choremu/opiekunowi informacji w zakresie określonym w prawie? 	TAK	Rozdział 6. i 7.	-
5.2. W.AOTM	Czy podsumowanie analizy wpływu na system ochrony zdrowia przeprowadzono w oparciu o analizę SWOT?	TAK	Tabela 25.	-
5.3. W.AOTM	Czy przedstawiono wnioski odnoszące się do celu analizy i będące bezpośrednio związane z uzyskanymi wynikami?	TAK	Rozdział 10.	-
5.1.10. W.AOTM	Czy przedstawiono dyskusję, w tym omówienie ograniczeń analizy?	TAK	Rozdział 8. i 9.	-

^a fragment tekstu Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku (Dz. U. Min. Zdr. 2012, poz. 388) do którego odnoszą się wskazane pytania; AWA – pytania zaczerpnięte z analiz weryfikacyjnych AOTMiT; W.AOTM – dodatkowe pytania zgodności analizy z Wytocznymi AOTMiT z 2016 roku;

^b numer rozdziału, tabeli, wykresu i/albo strony umożliwiający identyfikację fragmentu(ów) analizy odnoszącego(ych) się do wskazanego zagadnienia