

Analiza racjonalizacyjna

Tafamidis (Vyndaqel[®], kapsułki 20 mg)
w leczeniu amyloidozy transtyretynowej
u dorosłych chorych w 1. stopniu
(stadium) objawowej polineuropatii

Analiza racjonalizacyjna

Autorzy:




1. SPIS TREŚCI

1.	SPIS TREŚCI	2
2.	WKŁAD PRACY	3
3.	KEY POINTS.....	4
4.	ANALIZA RACJONALIZACYJNA	5
4.1.	Zasadność przeprowadzenia analizy.....	5
4.2.	Cel opracowania.....	6
4.3.	Metodyka i założenia.....	6
4.4.	Wyniki.....	8
5.	SPIS TABEL	10
6.	REFERENCJE.....	10

2. Wkład pracy

Lista osób zaangażowanych w tworzenie opracowania

	Analiza racjonalizacyjna dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, marzec 2018 r.
---	--

Zgodnie z procedurami firmy NUEVO HTA raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, obejmującej kontrolę merytoryczną, kontrolę obliczeń oraz korektę językową.

Data zakończenia analizy: 09.03.2018 r.

3. Key points

Podjęcie decyzji o finansowaniu leku *Vyndaqel*[®], kapsułki miękkie 20 mg, 30 sztuk, zawierającego tafamidis, pozwoliłoby na uzyskanie dostępu do jedynej skutecznej farmakoterapii w leczeniu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych pacjentów w 1. stopniu (stadium)¹ objawowej polineuropatii, stosowanej w celu opóźnienia wystąpienia obwodowych zaburzeń neurologicznych.

Wprowadzenie refundacji produktu *Vyndaqel*[®] z wysokim prawdopodobieństwem będzie się wiązać z dodatkowymi wydatkami dla płatnika publicznego. Maksymalne wydatki inkrementalne przedstawione w analizie wpływu na system ochrony zdrowia, uzyskane w wariancie maksymalnym, w ramach analizy wrażliwości, bez uwzględnienia proponowanego porozumienia podziału ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme, RSS*) [7] wyniosły około [REDACTED]

Przedstawiony w analizie racjonalizacyjnej mechanizm w postaci wprowadzenia na listę refundacyjną pierwszego odpowiednika uwzględnionych substancji finansowanych w ramach listy B lub C prowadzi do wygenerowania oszczędności w wysokości ok. 22 mln PLN, czyli znacząco przewyższających oszacowane maksymalne wydatki inkrementalne wynikające z refundacji leku *Vyndaqel*[®] wykazane w przedłożonej analizie wpływu na budżet płatnika publicznego, które wynoszą [REDACTED]

¹ tj. stadium I zgodnie z kliniczną (3-stopniową) skalą TTR-FAP wg *Coutinho 1980* [1]. W języku angielskim stosuje się sformułowanie 'stage', które w języku polskim może być wymiennie tłumaczone jako stopień / stadium

4. Analiza racjonalizacyjna

4.1. Zasadność przeprowadzenia analizy

Zgodnie z Ustawą o refundacji leków [9] w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji, należy przeprowadzić analizę racjonalizacyjną.

Wyniki przeprowadzonej przez *NUEVO HTA* analizy wpływu na budżet (ang. *Budget Impact Analysis, BIA*) dla leku *Vyndaqel®* [7] wykazały, że w przypadku finansowania tego produktu, płatnik publiczny będzie ponosił dodatkowe koszty.

W tabeli poniżej przedstawiono wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (NFZ), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku oraz dodatkowe wydatki inkrementalne.

Tabela 1 Zestawienie wydatków inkrementalnych z perspektywy NFZ – wyniki BIA

Wariant	Wydatki inkrementalne [PLN]	
	Rok 1.	Rok 2.
Analiza podstawowa, wariant z RSS		
Wariant minimalny	██████████	██████████
██████████████████	██████████	██████████
██████████████████	██████████	██████████
Analiza podstawowa, wariant bez RSS		
Wariant minimalny	██████████	██████████
██████████████████	██████████	██████████
██████████████████	██████████	██████████
Analiza wrażliwości, wariant bez RSS*		
Wariant minimalny	██████████	██████████
██████████████████	██████████	██████████
██████████████████	██████████	██████████

* maksymalny wynik inkrementalny uzyskany w ramach analizy wrażliwości

Wprowadzenie refundacji leku *Vyndaqel*[®] w leczeniu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych pacjentów w stadium I objawowej polineuropatii w celu opóźnienia wystąpienia obwodowych zaburzeń neurologicznych, w ramach listy B (program lekowy) wykazu leków refundowanych może się wiązać z dodatkowymi wydatkami dla płatnika publicznego, a zatem zaistniały warunki do przeprowadzenia analizy racjonalizacyjnej finansowania ocenianej technologii lekowej ze środków publicznych. Maksymalne możliwe dodatkowe koszty dla płatnika publicznego wynikające z objęcia leku *Vyndaqel*[®] refundacją wyniosły: XXXXXXXXXX

4.2. Cel opracowania

Celem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z wprowadzenia refundacji leku *Vyndaqel*[®] w ramach programu lekowego, w latach 2019-2020.

Analiza została przeprowadzona na zlecenie firmy *Pfizer Polska Sp. z o.o.*

4.3. Metodyka i założenia

W analizie racjonalizacyjnej przedstawiono mechanizm w postaci wprowadzenia pierwszego odpowiednika następujących produktów (jedynych odpowiedników w wykazie leków refundowanych) [8]:

- *Xolair*[®] (omalizumab) – w chwili obecnej, w ramach listy B wykazu leków refundowanych, w grupie limitowej 1102.0, Omalizumabum, finansowane są dwa produkty zawierające ww. substancję: *Xolair*, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg, 1 amp.-strz., *Xolair*, roztwór do wstrzykiwań, 75 mg, 1 amp.-strz.;
- *Synagis*[®] (palivizumab) – w chwili obecnej, w ramach listy B wykazu leków refundowanych, w grupie limitowej 1073.0, Palivizumab, finansowane są dwa produkty zawierające ww. substancję: *Synagis*, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 0,5 ml, *Synagis*, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 1 ml,
- *Naulasta*[®] (pegfilgrastim) – w chwili obecnej, w ramach listy B wykazu leków refundowanych, w grupie limitowej 1045.0, czynniki stymulujące granulopoezę, finansowany jest jeden produkt zawierający ww. substancję: *Neulasta*, roztwór do wstrzykiwań, 6 mg/0,6 ml, 1 amp.-strz.

Wprowadzenie pierwszych odpowiedników ww. produktów uwolniłoby środki publiczne w wysokości odpowiadającej, co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z refundacji leku *Vyndaqel*[®].

W tabeli poniżej przedstawiono wartość refundacji ww. produktów w 2017 r. oszacowaną na podstawie danych za okres styczeń-listopad 2017 r. z Komunikatów NFZ [6], ekstrapolowanych na cały rok, przy założeniu stałej sprzedaży.

Tabela 2 Wartość refundacji uwzględnionych produktów [6]

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku	EAN	Wartość refundacji I-XI 2017 [PLN]	Wartość refundacji 2017 [PLN]
Omalizumabum	Xolair, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg	5909990708406	21 770 117	23 749 219
Omalizumabum	Xolair, roztwór do wstrzykiwań, 75 mg	5909990708376	690 587	753 367
Palivizumabum	Synagis, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml	8054083006093	2 300 015	2 509 107
Palivizumabum	Synagis, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml	8054083006109	6 119 436	6 675 748
Pegfilgrastimum	Neulasta, roztwór do wstrzykiwań, 6 mg/0,6 ml	5909990007523	48 054 781	52 423 398

Z uwagi na wygaśnięcie praw ochrony patentowej dla leku *Xolair*[®] (omalizumab) – 01.08.2017 r., *Synagis*[®] (palivizumab) – 01.08.2015 r., *Neulasta*[®] (pegfilgrastim) – 21.08.2017 r. [5] można się spodziewać, że w niedalekiej przyszłości zostaną wprowadzone do obrotu w Polsce odpowiedniki dla ww. substancji. Zgodnie z informacjami przedstawionymi na stronach *GaBI* [3, 4, 2], badania nad produktami biopodobnymi do wyżej wymienionych są w trakcie realizacji lub zostały zakończone. Na tej podstawie założono, że refundacja odpowiedników do uwzględnionych leków może się rozpocząć już w 2018 r.

Zgodnie z Ustawą o refundacji [9], w przypadku wydania decyzji o objęciu refundacją pierwszego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu podstawą limitu w grupie limitowej jest cena hurtowa za DDD tego odpowiednika, a urzędowa cena zbytu z uwzględnieniem liczby DDD w opakowaniu jednostkowym, nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu. W niniejszej analizie konserwatywnie założono minimalną możliwą redukcję urzędowej ceny zbytu, równą 25%.

W celu oszacowania wydatków płatnika publicznego na uwzględnione substancje w horyzoncie analizy, konserwatywnie założono stałą sprzedaż na poziomie obserwowanym w 2017 r. Przyjęto, że w ramach scenariusza nowego

wydatki na refundację spadną o 25%, od momentu objęcia refundacją odpowiedników do uwzględnionych substancji.

Tabela 3 Wydatki na refundację w porównywanych scenariuszach

Substancja	Wartość refundacji [PLN]		
	2017 r. (referencyjny)	Rok 1.	Rok 2.
Scenariusz istniejący			
Omalizumabum	24 502 586	24 502 586	24 569 717
Palivizumab	9 184 856	9 184 856	9 210 020
Pegfilgrastim	52 423 398	52 423 398	52 567 024
Scenariusz nowy			
Omalizumabum	24 502 586	18 376 940	18 427 288
Palivizumab	9 184 856	6 888 642	6 907 515
Pegfilgrastim	52 423 398	39 317 548	39 425 268
Wartość inkrementalna			
Omalizumabum	-	-6 125 647	-6 142 429
Palivizumab	-	-2 296 214	-2 302 505
Pegfilgrastim	-	-13 105 849	-13 141 756

Szczegóły wszystkich kalkulacji przedstawiono w kalkulatorze dołączonym do analizy (plik *NUEVO_AR_Vyndaqel.xlsm*).

4.4. Wyniki

Przedstawiony w analizie racjonalizacyjnej mechanizm racjonalizacyjny polegający na objęciu refundacją pierwszych odpowiedników dla uwzględnionych substancji, prowadzi do wygenerowania oszczędności w wysokości ok. **22 mln PLN**.

Tabela 4 Wyniki analizy racjonalizacyjnej

Kategoria	Perspektywa płatnika publicznego	
	Rok 1.	Rok 2.
Wyniki maksymalne analizy wpływu na budżet, w ramach AW, bez RSS, wariant maksymalny	██████████	██████████
Oszczędności wynikające z realizacji proponowanego rozwiązania	-21 527 710	-21 586 690
Inkrementalne wydatki (+)/oszczędności (-)	██████████	██████████

Objęcie refundacją produktu *Vyndaqel*[®], przy jednoczesnej realizacji proponowanego rozwiązania racjonalizacyjnego, będzie się wiązało

z oszczędnościami dla płatnika publicznego w wysokości minimum: [REDACTED]

Należy zaznaczyć, że Podmiot odpowiedzialny proponuje porozumienie podziału ryzyka, którego wprowadzenie dodatkowo obniży koszty ponoszone przez płatnika publicznego na refundację wnioskowanej technologii. RSS nie został uwzględniony w niniejszej analizie, tym samym należy się spodziewać nawet wyższych oszczędności niż oszacowane w ramach analiz racjonalizacyjnej.

5. Spis tabel

Tabela 1 Zestawienie wydatków inkrementalnych z perspektywy NFZ – wyniki BIA	5
Tabela 2 Wartość refundacji uwzględnionych produktów [6]	7
Tabela 3 Wydatki na refundację w porównywanych scenariuszach	8
Tabela 4 Wyniki analizy racjonalizacyjnej	8

6. Referencje

1. Coutinho P, Lima JL, Barbosa AR. Forty years of experience with type I amyloid neuropathy. Review of 483 cases (W: Glenner G.G., Costa P.P., Freitas F., Amyloid and Amyloidosis, Excerpta Medica, Amsterdam 1980).
2. GaBI Journal. Biosimilars applications under review by EMA – January 2018. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-applications-under-review-by-EMA-January-2018>.
3. GaBI Journal. Biosimilars of omalizumab. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-omalizumab>.
4. GaBI Journal. Biosimilars of palivizumab. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-palivizumab>.
5. GaBI Journal. Patent expiry dates for best-selling biologicals. <http://gabi-journal.net/patent-expiry-dates-for-best-selling-biologicals.html>.
6. Internetowa strona Narodowego Funduszu Zdrowia, Komunikaty DGL, Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń-listopad 2017): <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,7110.html>.
7. NUEVO HTA. Analiza wpływu na budżet. Tafamidis (Vyndaqel[®], kapsułki 20 mg) w leczeniu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych chorych w stadium I objawowej polineuropatii. Kraków 2018 (praca niepublikowana).
8. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 26 lutego 2018 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.Urz.Min.Zdr.2018.13).
9. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, Dz. U. 2011 Nr 122 poz. 696.