



Erbitux® (cetuksymab) w leczeniu  
pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w  
obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z  
chemioterapią opartą na platynie w  
chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami

Analiza wpływu na budżet

Warszawa, listopad 2018

**Autorzy**

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]

**Dane kontaktowe**

HealthQuest spółka z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. K.  
ul. Mickiewicza 63  
01-625 Warszawa  
tel/fax +48 22 468 05 34  
kontakt@healthquest.pl  
<http://www.healthquest.pl>

**Zamawiający**

Merck Sp. z o.o.  
Aleje Jerozolimskie 142 B  
02-305 Warszawa

**Konflikt interesów**

Opracowanie przygotowane na zlecenie i finansowane przez Merck Sp. z o.o.

# Spis treści

<b>Wykaz skrótów i akronimów</b> .....	<b>4</b>
<b>Streszczenie</b> .....	<b>5</b>
<b>1 Cel analizy</b> .....	<b>6</b>
<b>2 Metodyka</b> .....	<b>7</b>
2.1 Populacja .....	8
2.1.1 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana .....	8
2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku .....	12
2.1.3 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana ...	16
2.1.4 Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją .....	16
2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji .....	17
2.2 Opis modelu .....	17
2.2.1 Perspektywa analizy .....	17
2.2.2 Horyzont czasowy analizy .....	18
2.2.3 Analizowane koszty .....	18
2.2.4 Uzasadnienie kategorii odpłatności i kwalifikacji do grupy limitowej wnioskowanego leku .....	19
2.2.5 Analiza wrażliwości .....	20
2.2.6 Scenariusze analizy .....	20
<b>3 Wyniki</b> .....	<b>23</b>
3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych .....	23
3.2 Scenariusze istniejące .....	23
3.3 Scenariusz na najbardziej prawdopodobny .....	24
3.3.1 Wariant analizy bez RSS .....	24
3.3.2 Wariant analizy z RSS .....	25
3.4 Scenariusz minimalny .....	26
3.4.1 Wariant analizy bez RSS .....	26
3.4.2 Wariant analizy z RSS .....	27
3.5 Scenariusz maksymalny .....	28
3.5.1 Wariant analizy bez RSS .....	28
3.5.2 Wariant analizy z RSS .....	29
<b>4 Podsumowanie</b> .....	<b>31</b>
<b>5 Ograniczenia i dyskusja</b> .....	<b>32</b>
<b>6 Wnioski</b> .....	<b>33</b>
<b>Spis tabel</b> .....	<b>34</b>



## Wykaz skrótów i akronimów

<b>ChPL</b>	Charakterystyka Produktu Leczniczego
<b>DGL</b>	Departament Gospodarki Lekami
<b>KRN</b>	Krajowy Rejestr Nowotworów
<b>MZ</b>	Ministerstwo Zdrowia
<b>NFZ</b>	Narodowy Fundusz Zdrowia
<b>PLN</b>	polski złoty
<b>PTO</b>	Polskie Towarzystwo Onkologiczne
<b>PTOK</b>	Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej
<b>RSS</b>	mechanizm dzielenia ryzyka (ang. <i>risk sharing scheme</i> )
<b>SCCHN</b>	płatkonabłonkowy rak narządów głowy i szyi (ang. <i>squamous cell carcinoma of the head and neck</i> )

# Streszczenie

## Cel pracy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet NFZ związanego z refundacją preparatu cetuksymabu (Erbix<sup>®</sup>) stosowanego w skojarzeniu z chemioterapią złożoną ze związków platyny (cisplatyna bądź karboplatyna) i 5-fluorouracylu w leczeniu pacjentów z płaskonabłonkowym rakiem na żądów głowy i szyi (na wrotowym lub z przerzutami),

[Redacted]

[Redacted] Analizę kosztów terapii lekiem Erbix<sup>®</sup> przeprowadzono na tle kosztów samej chemioterapii złożonej ze związków platyny (cisplatyna bądź karboplatyna) i 5-fluorouracylu.

## Metody

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego w horyzoncie dwóch kolejnych lat. W analizie uwzględniono koszty leków, koszty podania i monitorowania leczenia, koszty leczenia działań niepożądanych oraz koszt związane z opieką paliatywną. Analiza scenariuszowa objęta scenariusz istniejący, w którym przedstawiono koszty chemioterapii złożonej ze związków platyny (cisplatyna bądź karboplatyna) i 5-fluorouracylu, oraz scenariusze nowe (najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w których przedstawiono koszty leczenia w przypadku refundacji cetuksymabu. Definicje poszczególnych scenariuszy różnią się liczebnością docelowej populacji, którą szacowano w oparciu o dane Krajowego Rejestru Nowotworów, piśmiennictwo oraz opinie ekspertów klinicznych. Koszty terapii szacowano w oparciu o obwieszczenie MZ z dn. 26.10.2018 oraz dane DGL z dn. 16.10.2018. W analizie przedstawiono wariant, w którym cetuksymab jest refundowany w grupie limitowej 1057.0 w kategorii dostępności refundacyjnej lek (...) stosowany w ramach programu lekowego. Ze względu na brak istotnego współpłacenia, analizę przeprowadzono jedynie z perspektywy płatnika publicznego. W analizie uwzględniono scenariusz najbardziej prawdopodobny oraz scenariusze minimalny i maksymalny, które uwzględniają niepewność szacunków związaną z liczebnością docelowej populacji. Model analizy oparto na założeniach i wynikach analizy ekonomicznej. Wyniki analizy przedstawiono dla dwóch wariantów refundacji cetuksymabu - nieuwzględniającego i uwzględniającego zaproponowane przez wnioskodawcę rozwiązania RSS. Poniżej przedstawiono tylko wyniki w wariantcie uwzględniającym zaproponowane przez wnioskodawcę rozwiązania RSS, ponieważ są to wyniki najbardziej informatywne dla płatnika.

## Wyniki

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

## Wnioski

[Redacted]

# 1 Cel analizy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet NFZ związanego z refundacją preparatu cetuksymabu (Erbix<sup>®</sup>) stosowanego w skojarzeniu z chemioterapią złożoną ze związków platyny (cisplatyna bądź karboplatyna) i 5-fluorouracylu w leczeniu pacjentów z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (nawrotowym lub z przerzutami),

[REDACTED]

[REDACTED] Analizę kosztów terapii lekiem Erbitux<sup>®</sup> przeprowadzono na tle kosztów samej chemioterapii złożonej ze związków platyny (cisplatyna bądź karboplatyna) i 5-fluorouracylu.

## 2 Metodyka

W niniejszym rozdziale przedstawiono zestawienie tabelaryczne wartości i wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań dotyczących:

- rocznej liczebności populacji;
- 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 z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (zwana dalej ustawą refundacyjną), lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy refundacyjnej;
- 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;
- 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, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, w tym minimalnych i maksymalnych wariantów dla tego oszacowania;
- ilościowej prognozy 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 refundacyjnej;
- ilościowej prognozy 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 refundacyjnej. W analizie zdefiniowano scenariusz istniejący oraz scenariusze nowe: najbardziej prawdopodobny oraz minimalny i maksymalny (patrz rozdział 2.2.5).



## 2.1 Populacja

### 2.1.1 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, produkt leczniczy cetuksymab (Erbix<sup>®</sup>) jest wskazany do stosowania w leczeniu:

- pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi:
  - o w skojarzeniu z chemioterapią opartą na platynie w chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami.

Według danych WHO, nowotwory narządów głowy i szyi stanowią około 7% wśród mężczyzn oraz 2,6% wśród kobiet wszystkich nowych zachorowań na nowotwory złośliwe [CANCER TODAY]. Szacowany współczynnik zapadalności na nowotwory głowy i szyi (bez nowotworów jamy nosowej, ucha środkowego oraz zatok przynosowych) wyniósł w 2012 r. 11,1 na 100 tys. mieszkańców [PTO 2014]. Większość zachorowań dotyczy pacjentów po 45. roku życia, choć rak nosowej części gardła ma drugi szczyt zachorowań pomiędzy 15. a 35. rokiem życia. Zachorowalność na raka narządów głowy i szyi jest prawie 5-krotnie wyższa wśród mężczyzn niż wśród kobiet. Nowotwory złośliwe głowy i szyi stanowiły w 2015 roku około 4,4% wszystkich nowych zachorowań na nowotwory złośliwe w Polsce. U mężczyzn odsetek ten wynosił 6,7%, a w populacji kobiet - 2,1%. Zgony z powodu nowotworów tego obszaru stanowiły 6,5% wszystkich zgonów nowotworowych u mężczyzn i 2,1% wszystkich zgonów nowotworowych u kobiet. W wartościach bezwzględnych, w 2015 roku w Polsce odnotowano 7 189 nowych zachorowań i prawie 4 564 zgonów z powodu nowotworów głowy i szyi - patrz Tab. 1 [KRN]. Według danych PTOK, około 90% nowotworów górnego odcinka układu pokarmowego i dróg oddechowych stanowią raki płaskonabłonkowe, które wywodzą się z nierogowaciejącego nabłonka wielowarstwowego płaskiego [płaskonabłonkowe raki głowy i szyi] [PTOK 2013]. Najczęstszym nowotworem głowy i szyi jest rak krtani (2526 nowych przypadków w 2015 roku w Polsce, co stanowi około 35% nowotworów głowy i szyi) - patrz Tab. 1 [KRN]. Zanotowano także 2 258 nowych przypadków nowotworów w obrębie jamy ustnej (ok. 31% wszystkich nowotworów głowy i szyi, kody od C00 do C06) oraz 279 przypadków nowotworów części ustnej gardła (ang. *oropharynx*, 4% wszystkich nowotworów głowy i szyi) [KRN]. W oparciu o dane KRN (patrz Tab. 1) oraz dane PTOK (90% nowotworów górnego odcinka układu pokarmowego i dróg oddechowych stanowią raki płaskonabłonkowe) liczbę zachorowań na SOCHN można szacować na około 6 470.<sup>1</sup>

---

<sup>1</sup> Zachorowania nowotwory złośliwe w Polsce. Krajowy Rejestr Nowotworów. Dostępne na stronie <http://onkologia.org.pl/raporty/> dostęp z dnia 14.08.2018, zmodyfikowane w oparciu o odsetek pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie szyi i głowy (90%) wg danych z Zaleceń PTOK dostępnych na stronie:

[http://www.onkologia.zalecenia.med.pl/pdf/PTOK\\_2013\\_01\\_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf](http://www.onkologia.zalecenia.med.pl/pdf/PTOK_2013_01_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf) dostęp z dnia 14.08.2018

Tab. 1. Epidemiologia nowotworów głowy i szyi w Polsce - liczba nowych zachorowań i zgonów.

Kod ICD- 10	Wskaźanie	Liczba nowych zachorowań		Liczba zgonów		Mężczyźni		Kobiety	
		Mężczyźni	Kobiety	Mężczyźni	Kobiety	udział % za chorowań względem wszystkich nowotworów	udział % zgonów względem wszystkich nowotworów	udział % za chorowań względem wszystkich nowotworów	udział % zgonów względem wszystkich nowotworów
C00	Nowotwory złośliwe wargi	306	106	120	52	0,4%	0,2%	0,1%	0,1%
C01	Nowotwór złośliwy nasady języka	174	60	167	46	0,2%	0,3%	0,1%	0,1%
C02	Nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych części języka	386	176	248	83	0,5%	0,4%	0,2%	0,2%
C03	Nowotwór złośliwy dziąsła	102	63	37	16	0,1%	0,1%	0,1%	0,0%
C04	Nowotwór złośliwy dna jamy ustnej	373	121	274	76	0,5%	0,5%	0,1%	0,2%
C05	Nowotwór złośliwy podniebienia	119	54	60	24	0,1%	0,1%	0,1%	0,1%
C06	Nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych części jamy ustnej	141	77	89	47	0,2%	0,2%	0,1%	0,1%
C07	Nowotwór złośliwy ślinianki przyusznej	181	166	99	61	0,2%	0,2%	0,2%	0,1%

Kod ICD-10	Wskaźanie	Liczba nowych zachorowań		Liczba zgonów		Mężczyźni		Kobiety	
		Mężczyźni	Kobiety	Mężczyźni	Kobiety	udział % za chorowań względem wszystkich nowotworów	udział % zgonów względem wszystkich nowotworów	udział % za chorowań względem wszystkich nowotworów	udział % zgonów względem wszystkich nowotworów
C08	Nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych dużych gruczołów ślinowych	58	46	29	29	0,1%	0,1%	0,1%	0,1%
C09	Nowotwory złośliwe migdałka	437	165	244	62	0,5%	0,4%	0,2%	0,1%
C10	Nowotwór złośliwy części ustnej gardła (oropharynx)	225	54	172	50	0,3%	0,3%	0,1%	0,1%
C11	Nowotwór złośliwy części nosowej gardła (nasopharynx)	129	72	77	40	0,2%	0,1%	0,1%	0,1%
C12	Nowotwór złośliwy szyjki gruszkowatego	131	16	61	7	0,2%	0,1%	0,0%	0,0%
C13	Nowotwór złośliwy części krtańowej gardła (hypopharynx) w obrębie wagi, jamy ustnej i gardła	301	55	231	37	0,4%	0,4%	0,1%	0,1%
C14	Nowotwór złośliwy o innym i o bliżej nieokreślonym umiejscowieniu	77	18	209	46	0,1%	0,4%	0,0%	0,1%

Kod ICD-10	Wskaźnik	Liczba nowych zachorowań		Liczba zgonów		Mężczyźni		Kobiety	
		Mężczyźni	Kobiety	Mężczyźni	Kobiety	udział % za chorowań względem wszystkich nowotworów	udział % zgonów względem wszystkich nowotworów	udział % za chorowań względem wszystkich nowotworów	udział % zgonów względem wszystkich nowotworów
C30	Nowotwór złośliwy jamy nosowej i ucha środkowego	59	61	28	28	0,1%	0,1%	0,1%	0,1%
C31	Nowotwór złośliwy zatok przynosowych	88	66	61	44	0,1%	0,1%	0,1%	0,1%
C32	Nowotwór złośliwy krtani	2171	355	1405	205	2,7%	2,5%	0,4%	0,5%
SUMA		5458	1731	3611	953	6,7%	6,5%	2,1%	2,1%

Szacuje się, że około 50% przypadków SCCHN rozpoznawanych jest w stadium lokalnego zaawansowania (III, IVA, IVB wg klasyfikacji TMN), a około 15% przypadków to pacjenci z przerzutami [Seiwert 2005]. Ze względu na brak opublikowanych danych epidemiologicznych liczebność populacji pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami oszacowano w oparciu o dane Krajowego Rejestru Nowotworów [KRN], PTOK oraz opinie ekspertów klinicznych. W oparciu o te dane szacowana liczebność populacji z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w chorobie nawracającej lub z przerzutami wynosi około 668-1290 pacjentów (patrz Tab. 2).

**Tab. 2. Liczebność populacji pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami.**

A	Liczba nowych przypadków w SCCHN (raka płaskonabłonkowego w obrębie głowy i szyi) /rok	6470	bd (6470)*	6 000
B	Odsetek pacjentów z lokalizacją nowotworu w obrębie nosogardła*	3,0%	8,0%	3,0%
C	Stopień zaawansowania nowotworu w momencie rozpoznania			
C1	Stopień 0-IV*	35%	30%	35%
C2	Stopień III-IVb	50%	50%	50%
C3	Stopień IVc	15%	20%	15%
D	Odsetek pacjentów z rakiem miejscowo zaawansowanym (populacja C2), u których nastąpi nawrót lub progresja do choroby z przerzutami	50%	50%	50%
E	Liczba pacjentów z nawrotem choroby lub rakiem przerzutowym	2229	2403	2 304
F	Odsetek pacjentów z populacji „E” kwalifikowanych do leczenia systemowego	50%	70%	70%
G	Odsetek pacjentów z populacji "E" bez przeciwwskazań do chemioterapii opartej na platynie	60%	50%	80%
H	Liczba pacjentów kwalifikowanych do leczenia systemowego bez przeciwwskazań do chemioterapii opartej na platynie	668	841	1 290

\* brak danych, przyjęto obliczenia oparte na danych KRN i PTOK; \*\* populacja nie kwalifikowana do leczenia cetuksymabem

## 2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla produktu leczniczego cetuksymab (Erbix<sup>®</sup>) nie jest tożsame ze wskazaniem rejestracyjnym - wnioskowane wskazanie jest ograniczone przez kryteria włączenia do programu lekowego, które są węższe w porównaniu do wskazania z ChPL.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Ze względu na brak opublikowanych danych epidemiologicznych liczebność populacji docelowej wskazanej we wniosku oszacowano w oparciu o dane Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN) oraz opinie ekspertów klinicznych. W oparciu o te dane, szacowana liczebność populacji z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami spełniającej kryteria włączenia do programu lekowego wynosi około [REDACTED] (patrz Tab. 3). [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Obliczenia populacji przedstawiono w arkuszu „BIA-populacja” w załączonym modelu analizy.



■		■	■	■	■	■
■		■	■	■	■	■
■		■	■	■	■	■
■		■	■	■	■	■
■		■	■	■	■	■

\* brak danych, przyjęto obliczenia oparte na danych KRN i PTOK;

[1] Zachorowania 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 25.07.2016, zmodyfikowane w oparciu o odsetek pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie szyi i głowy wg danych z Zaleceń PTOK dostępnych na stronie

[http://www.onkologia.zalacenia.med.pl/pdf/PTOK\\_2013\\_01\\_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf](http://www.onkologia.zalacenia.med.pl/pdf/PTOK_2013_01_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf) dostęp z dnia 26.07.16

[2] Zalecenia PTOK dostępne na stronie [http://www.onkologia.zalacenia.med.pl/pdf/PTOK\\_2013\\_01\\_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf](http://www.onkologia.zalacenia.med.pl/pdf/PTOK_2013_01_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf) dostęp z dnia 26.11.2016

[3] Seiwert TY, Cohen EEW. State-of-the-art management of locally advanced head and neck cancer. *British Journal of Cancer* (2005) 92, 1341 - 1348.

[4] Vermorken JB, Mesia R, Rivera F, Remenar E, Kaweckki A, Rottey S, Erfan J, Zabolotnyy D, Kienzer H-R, Cupissol D, Peyrade F, Benasso M, Wnnychenko I, De Raucourt D, Bokemeyer C, Schueler A, Amellal A, Hitt R. Platinum-Based Chemotherapy plus Cetuximab in Head and Neck Cancer. *N Engl J Med* 2008;359:1116-27.



### 2.1.3 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana oszacowano na podstawie danych ze sprawozdania NFZ za IV kwartał 2017 roku (Tabela VI.3.2 sprawozdania). Wnioskowana technologia jest obecnie stosowana w Polsce:

- w ramach programu lekowego B.4, u 749 pacjentów z rakiem jelita grubego
- w ramach programu lekowego B.52, u 80 z lokalnie zaawansowanym SOCHN,

tj. w sumie w 2017 roku u 829 pacjentów [Sprawozdanie NFZ 2017].

Wnioskowana technologia nie jest obecnie stosowana w leczeniu pacjentów z SOCHN w chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami - brak finansowania tej technologii ze środków publicznych praktycznie blokuje dostęp pacjentów do terapii lekiem.

### 2.1.4 Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją

Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją jest tożsama z liczebnością populacji docelowej wskazanej we wniosku opisana w rozdziale 2.1.2. Ze względu na niską liczebność populacji docelowej, przyjęto konserwatywne dla analizy założenie (maksymalizujące liczebność populacji leczonej), że docelowa liczebność populacji leczonej zostanie osiągnięta już w 1. roku refundacji.

W tabeli poniżej zestawiono liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją w kolejnych latach. W analizie podstawowej wykorzystano średni szacunek ekspertów, a w skrajnych scenariuszach minimalnym i maksymalnym odpowiednio minimalne i maksymalne liczebności populacji wskazywane przez ekspertów.

**Tab. 4. Liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.**

Wariant szacunków	Liczebność populacji		Źródło
	1. rok	2. rok	
Najbardziej prawdopodobny	■	■	■
Minimalny	■	■	
Maksymalny	■	■	

## 2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji

Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji przedstawione w rozdziałach 2.1.1 - 2.1.4 zestawiono w tabeli poniżej.

**Tab. 5. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.**

Populacja	Liczebność populacji		Odnosnik do rozdziału i tabeli
	1. rok	2. rok	
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

\* dotyczy innych wskazań niż wnioskowane; we wnioskowanej populacji technologia nie jest obecnie stosowana

## 2.2 Opis modelu

Model analizy wpływu na budżet oparto na modelu ekonomicznym (patrz załączona dokumentacja - analiza ekonomiczna). Analogicznie do modelu ekonomicznego, model analizy wpływu na budżet zbudowano w oparciu o cykle terapii o długości 21 dni. Rok analizy składa się zatem z 17 cykli, a cały model z 34 cykli. Wykorzystano szacowane przez model ekonomiczny koszty terapii, które przypisano docelowej populacji, zakładając, że pacjenci są włączani do leczenia liniowo w ciągu roku. W kolejnych podrozdziałach opisano szczegóły założeń modelu analizy.

### 2.2.1 Perspektywa analizy

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ). W związku z brakiem istotnego współpłacenia (leczenie realizowane w ramach programu lekowego, jedyne koszty bezpośrednie, w których uczestniczy pacjent, to leczenie działań niepożądanych, które w analizie ekonomicznej stanowiły około 0,5% kosztów inkrementalnych) odstąpiono od przeprowadzania dodatkowej analizy kosztów ponoszonych przez pacjenta oraz analizy z perspektywy wspólnej - płatnika publicznego i pacjenta.

## 2.2.2 Horyzont czasowy analizy

W analizie przyjęto 2-letni horyzont obserwacji. Przyjęty horyzont analizy wynika z czasu obowiązywania decyzji refundacyjnej.

## 2.2.3 Analizowane koszty

W analizie uwzględniono następujące kategorie kosztów:

- prowadzenie programu lekowego:
  - o koszt cetuksymabu;
  - o koszt leków podawanych w ramach chemioterapii, uwzględnionych w programie lekowym;
  - o koszt kwalifikacji;
  - o koszt podania leczenia;
  - o koszt monitorowania leczenia;
- leczenie poza programem lekowym:
  - o koszt leków podawanych w ramach chemioterapii;
  - o koszt podania leczenia;
  - o koszt monitorowania leczenia;
- leczenie po wystąpieniu progresji choroby (w programie i poza programem):
  - o koszt leków podawanych w ramach chemioterapii paliatywnej;
  - o koszt radioterapii;
  - o koszt leczenia chirurgicznego;
  - o koszt monitorowania choroby;
  - o koszt podania leczenia;
  - o koszt pobytu w hospicjum;
- koszt działań niepożądanych związanych z prowadzonym leczeniem.

Ponieważ model analizy wpływu na budżet korzysta z danych wykorzystanych w analizie ekonomicznej (model analizy BIA został wpisany w model analizy ekonomicznej), w niniejszym dokumencie nie przedstawiono szczegółowego opisu zużycia zasobów i kosztów wykorzystanych w analizie. Opis ten jest tożsamy z opisem przedstawionym w analizie ekonomicznej.

Ze względów technicznych (sposobu obliczeń w adoptowanym modelu ekonomicznym) w wynikach modelu analizy wpływu na budżet prezentowane są następujące kategorie kosztów:

- koszt cetuksymabu,

- koszt chemioterapii i radioterapii,
- koszt podania leczenia,
- koszt monitorowania leczenia i opieki paliatywnej,
- koszty leczenia działań niepożądanych.

W celu wyodrębnienia kosztów monitorowania leczenia i opieki paliatywnej można wykorzystać przycisk „Usunięcie kosztów hospicjum”.

## **2.2.4 Uzasadnienie kategorii odpłatności i kwalifikacji do grupy limitowej wnioskowanego leku**

Wnioskodawca wnosi o refundację w ramach kategorii dostępności refundacyjnej: lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowany w ramach programu lekowego.

Zgodnie z aktualną ustawą refundacyjną (art. 14 ustawy), lek mający udowodnioną skuteczność w leczeniu nowotworu złośliwego albo lek stosowany w ramach programu lekowego kwalifikuje się do kategorii odpłatności „bezpłatny”.

Zgodnie z aktualną ustawą refundacyjną (art. 15 ustawy - punkt 2), do grupy limitowej kwalifikuje się lek posiadający tę samą nazwę międzynarodową albo inne nazwy międzynarodowe, ale podobne działanie terapeutyczne i zbliżony mechanizm działania oraz środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny, przy zastosowaniu następujących kryteriów:

- 1) tych samych wskazań lub przeznaczeń, w których są refundowane;
- 2) podobnej skuteczności.

Cetuksymab jest obecnie refundowany w ramach grupy limitowej 1057.0, Cetuximab, w dwóch programach lekowych:

- B4. Leczenia raka jelita grubego.
- B.52. Leczenia płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie

Zatem cetuksymab może być zakwalifikowany do obecnie istniejącej grupy limitowej 1057.0.

Zgodnie z aktualną ustawą refundacyjną (art. 15 ustawy - punkt 3) po zasięgnięciu opinii Rady Przejrzystości, opierającej się w szczególności na porównaniu wielkości kosztów uzyskania podobnego efektu zdrowotnego lub dodatkowego efektu zdrowotnego, dopuszcza się tworzenie:

- 1) odrębnej grupy limitowej, w przypadku, gdy droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny;
- 2) wspólnej grupy limitowej, w przypadku, gdy podobny efekt zdrowotny lub podobny dodatkowy efekt zdrowotny uzyskiwany jest pomimo odmiennych mechanizmów działania leków;

Oba podpunkty nie dotyczą cetuksymabu, stąd w mocy pozostaje konkluzja o konieczności kwalifikacji do obecnie istniejącej grupy limitowej 1057.0.

## 2.2.5 Analiza wrażliwości

W modelu w ramach analizy scenariuszowej testowano założenia dotyczące liczebności docelowej populacji (patrz rozdział 2.1.4) oraz dodatkowo parametry dotyczące kosztów leczenia działań niepożądanych. Parametry te są najistotniejsze z punktu widzenia analizy wrażliwości (reszta zmiennych, jak wykazała analiza wrażliwości w analizie ekonomicznej ma ograniczony wpływ na koszty terapii). Formalna analiza wrażliwości została ograniczona do analizy skrajnych scenariuszy (opisano w kolejnym rozdziale).

## 2.2.6 Scenariusze analizy

Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, w którym przedstawiono sytuację, w której cetuksymab we wnioskowanym wskazaniu nie jest refundowany, oraz scenariusze nowe (najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w których przedstawiono prognozy wpływu na budżet związane z refundacją preparatu cetuksymabu.

### 2.2.6.1 Scenariusz istniejący

Scenariusz istniejący odpowiada ilościowej prognozie 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.

Ponieważ jedną ze zmiennych testowanych w analizie scenariuszowej jest liczebność populacji docelowej, a zmienna ta wpływa również na wyniki scenariusza istniejącego, zatem w praktyce w modelu każdemu z trzech nowych scenariuszy (najbardziej prawdopodobnemu, minimalnemu i maksymalnemu) odpowiada osobny scenariusz istniejący zakładający równie liczną populację docelową jak w każdym ze scenariuszy nowych. Dodatkowo, poszczególne scenariusze istniejące będą się różniły częstością występowania działań niepożądanych i kosztami ich leczenia. W tabeli poniżej zestawiono parametry wykorzystane w analizie w poszczególnych scenariuszach istniejących.

**Tab. 6. Zestawienie założeń scenariusza istniejącego analizy.**

Zmienna	Wartość	Źródło
Liczebność populacji docelowej	[REDACTED]	Opisano szczegółowo w rozdziale 2.1.2
Liczebność populacji otrzymujące j cetuksymab	Najbardziej prawdopodobny: 1. i 2. rok - 0 Minimalny: 1. i 2. rok - 0 Maksymalny: 1. i 2. rok - 0	Założenie braku refundacji cetuksymabu

Zmienna	Wartość	Źródło
Koszty leczenia działań niepożądanych	Najbardziej prawdopodobny: 1. i 2. rok - jak w scenariuszu podstawowym analizy ekonomicznej Minimalny: 1. i 2. rok - jak w scenariuszu analizy wrażliwości analizy ekonomicznej Maksymalny: 1. i 2. rok - jak w scenariuszu analizy wrażliwości analizy ekonomicznej	Opisano w analizie ekonomicznej (rozdział 2.6.4)
Częstość występowania działań niepożądanych	Najbardziej prawdopodobny: 1. i 2. rok - jak w scenariuszu podstawowym analizy ekonomicznej Minimalny: 1. i 2. rok - jak w scenariuszu analizy wrażliwości analizy ekonomicznej Maksymalny: 1. i 2. rok - jak w scenariuszu analizy wrażliwości analizy ekonomicznej	Opisano w analizie ekonomicznej (rozdział 2.3.2)

### 2.2.6.2 Scenariusze nowe

Scenariusze nowe odpowiadają ilościowej prognozie 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.

W niniejszej analizie zdefiniowano trzy scenariusze nowe: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny. Poszczególne scenariusze różnią się w zakresie liczebności docelowej populacji oraz częstości występowania działań niepożądanych i kosztów ich leczenia. W tabeli poniżej zestawiono parametry wykorzystane w analizie w poszczególnych scenariuszach nowych.

**Tab. 7. Zestawienie założeń scenariuszy nowych analizy.**

Zmienna	Wartość			Źródło
	Scenariusz najbardziej prawdopodobny	Scenariusz minimalny	Scenariusz maksymalny	
Liczebność populacji docelowej	██████████	██████████	██████████	Opisano szczegółowo w rozdziale 2.1.2
Liczebność populacji otrzymujące j cetuksymab	██████████	██████████	██████████	Opisano szczegółowo w rozdziale 2.1.4

Zmienna	Wartość			Źródło
	Scenariusz najbardziej prawdopodobny	Scenariusz minimalny	Scenariusz maksymalny	
Koszty leczenia działań niepożądanych	1. i 2. rok - jak w scenariuszu podstawowym analizy ekonomicznej	1. i 2. rok - jak w scenariuszu 2A analizy wrażliwości analizy ekonomicznej	1. i 2. rok - jak w scenariuszu 2B analizy wrażliwości analizy ekonomicznej	Opisano w analizie ekonomicznej - tabela 44
Częstość występowania działań niepożądanych	1. i 2. rok - jak w scenariuszu podstawowym analizy ekonomicznej	1. i 2. rok - jak w scenariuszu 9A analizy wrażliwości analizy ekonomicznej	1. i 2. rok - jak w scenariuszu 9B analizy wrażliwości analizy ekonomicznej	Opisano w analizie ekonomicznej - tabela 44



## 3 Wyniki

### 3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych

Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku odpowiadają szacunkom przedstawionym w scenariuszach istniejących (patrz rozdział 3.2).

### 3.2 Scenariusze istniejące

W tabelach poniżej zestawiono wyniki dla scenariuszy istniejących (najbardziej prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego), w których przedstawiono 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**.

Dla scenariusza istniejącego najbardziej prawdopodobnego, szacowane roczne koszty terapii wyniosą 2 640 669 PLN i 4 723 779 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Dla scenariusza istniejącego minimalnego, szacowane roczne koszty terapii wyniosą 1 858 259 PLN i 3 342 476 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Dla scenariusza istniejącego maksymalnego, szacowane roczne koszty terapii wyniosą 3 458 315 PLN i 6 140 320 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

**Tab. 8. Wyniki dla scenariusza istniejącego najbardziej prawdopodobnego (z RSS i bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt ceftaksymabu	0 PLN	0 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	443 910 PLN	666 230 PLN
Koszt podania leczenia	1 359 287 PLN	1 611 522 PLN
Koszt monitorowania leczenia	275 675 PLN	435 988 PLN
Koszt opieki paliatywnej	499 549 PLN	1 947 793 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	62 247 PLN	62 247 PLN
Razem	2 640 669 PLN	4 723 779 PLN



**Tab. 9. Wyniki dla scenariusza istniejącego minimalnego (z RSS i bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu	0 PLN	0 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	316 286 PLN	474 689 PLN
Koszt podania leczenia	968 492 PLN	1 148 209 PLN
Koszt monitorowania leczenia	196 418 PLN	310 641 PLN
Koszt opieki paliatywnej	355 929 PLN	1 387 802 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	21 134 PLN	21 134 PLN
Razem	1 858 259 PLN	3 342 476 PLN

**Tab. 10. Wyniki dla scenariusza istniejącego maksymalnego (z RSS i bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu	0 PLN	0 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	571 535 PLN	857 771 PLN
Koszt podania leczenia	1 750 082 PLN	2 074 834 PLN
Koszt monitorowania leczenia	354 931 PLN	561 334 PLN
Koszt opieki paliatywnej	643 169 PLN	2 507 783 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	138 598 PLN	138 598 PLN
Razem	3 458 315 PLN	6 140 320 PLN

### 3.3 Scenariusz najbardziej prawdopodobny

W kolejnych podrozdziałach przedstawiono wyniki dla scenariusza nowego najbardziej prawdopodobnego, które odpowiadają najbardziej prawdopodobnej ilościowej prognozie 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**.

#### 3.3.1 Wariant analizy bez RSS

W wariantcie analizy nieuwzględniającym proponowane przez wnioskodawcę rozwiązania RSS, szacowane roczne koszty terapii dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego wyniosą 13 963 248 PLN i 22 262 582 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Roczne koszty refundacji cetuksymabu dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego wyniosą 10 928 161 PLN i 16 362 509 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy (patrz Tab. 11). Szacowany roczny wzrost wydatków NFZ wyniesie 11 322 579 PLN i 17 538 803 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy (patrz Tab. 12).

**Tab. 11. Wyniki dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego (bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu	10 928 161 PLN	16 362 509 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	368 176 PLN	66 5 074 PLN
Koszt podania leczenia	1 897 514 PLN	2 517 505 PLN
Koszt monitorowania leczenia	352 487 PLN	658 026 PLN
Koszt opieki paliatywnej	357 132 PLN	1 999 690 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	59 778 PLN	59 778 PLN
Razem	13 963 248 PLN	22 262 582 PLN

**Tab. 12. Wyniki inkrementalne dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego vs scenariusz istniejący (bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu	10 928 161 PLN	16 362 509 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	-75 735 PLN	-1 156 PLN
Koszt podania leczenia	538 227 PLN	90 5 984 PLN
Koszt monitorowania leczenia	76 812 PLN	222 039 PLN
Koszt opieki paliatywnej	-142 417 PLN	51 897 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	-2 469 PLN	-2 469 PLN
Razem	11 322 579 PLN	17 538 803 PLN

### 3.3.2 Wariant analizy z RSS


**Tab. 13. Wyniki dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego (z RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu		
Koszt chemioterapii i radioterapii		
Koszt podania leczenia		
Koszt monitorowania leczenia		
Koszt opieki paliatywnej		

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszty leczenia działań niepożądanych		
Razem		

**Tab. 14. Wyniki inkrementalne dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego vs scenariusz istniejący (z RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu		
Koszt chemioterapii i radioterapii		
Koszt podania leczenia		
Koszt monitorowania leczenia		
Koszt opieki paliatywnej		
Koszty leczenia działań niepożądanych		
Razem		

### 3.4 Scenariusz minimalny

W kolejnych podrozdziałach przedstawiono wyniki dla scenariusza nowego minimalnego, które odpowiadają minimalnej ilościowej prognozie 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.

#### 3.4.1 Wariant analizy bez RSS

W wariantcie analizy nieuwzględniającym proponowanego przez wnioskodawcę rozwiązania RSS, szacowane roczne koszty terapii wyniosą dla scenariusza nowego minimalnego 9 927 544 PLN i 15 840 819 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Roczne koszty refundacji cetuksymabu wyniosą 7 786 315 PLN i 11 658 287 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy (patrz Tab. 15). Szacowany roczny wzrost wydatków NFZ wyniesie dla scenariusza nowego minimalnego 8 069 284 PLN i 12 498 344 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy (patrz Tab. 16).

**Tab. 15. Wyniki dla scenariusza nowego minimalnego (bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu	7 786 315 PLN	11 658 287 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	262 325 PLN	473 865 PLN
Koszt podania leczenia	1 351 979 PLN	1 793 723 PLN

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt monitorowania leczenia	2 51 147 PLN	468 844 PLN
Koszt opieki paliatywnej	2 54 457 PLN	1 424 779 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	21 322 PLN	21 322 PLN
Razem	9 927 544 PLN	15 840 819 PLN

**Tab. 16. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego minimalnego vs scenariusz istniejący (bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt ceftaksymabu	7 786 315 PLN	11 658 287 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	-53 961 PLN	-824 PLN
Koszt podania leczenia	383 487 PLN	645 514 PLN
Koszt monitorowania leczenia	54 728 PLN	158 203 PLN
Koszt opieki paliatywnej	-101 472 PLN	36 977 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	187 PLN	187 PLN
Razem	8 069 284 PLN	12 498 344 PLN

### 3.4.2 Wariant analizy z RSS


**Tab. 17. Wyniki dla scenariusza nowego minimalnego (z RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt ceftaksymabu		
Koszt chemioterapii i radioterapii		
Koszt podania leczenia		
Koszt monitorowania leczenia		
Koszt opieki paliatywnej		
Koszty leczenia działań niepożądanych		
Razem		

**Tab. 18. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego minimalnego vs scenariusz istniejący (z RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu		
Koszt chemioterapii i radioterapii		
Koszt podania leczenia		
Koszt monitorowania leczenia		
Koszt opieki paliatywnej		
Koszty leczenia działań niepożądanych		
Razem		

### 3.5 Scenariusz maksymalny

W kolejnych podrozdziałach przedstawiono wyniki dla scenariusza nowego maksymalnego, które odpowiadają maksymalnej ilościowej prognozie 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.

#### 3.5.1 Wariant analizy bez RSS

W wariantcie analizy nieuwzględniającym proponowanego przez wnioskodawcę rozwiązania RSS, szacowane roczne koszty terapii dla scenariusza nowego maksymalnego wyniosą 18 029 033 PLN i 28 714 426 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Roczne koszty refundacji cetuksymabu wyniosą 14 070 008 PLN i 21 066 730 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy (patrz Tab. 19). Szacowany roczny wzrost wydatków NFZ dla scenariusza nowego maksymalnego bez RSS wyniesie 14 570 718 PLN i 22 574 106 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy (patrz Tab. 20).

**Tab. 19. Wyniki dla scenariusza nowego maksymalnego (bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu	14 070 008 PLN	21 066 730 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	474 026 PLN	856 283 PLN
Koszt podania leczenia	2 443 049 PLN	3 241 288 PLN
Koszt monitorowania leczenia	453 827 PLN	847 209 PLN
Koszt opieki paliatywnej	459 808 PLN	2 574 600 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	128 316 PLN	128 316 PLN
Razem	18 029 033 PLN	28 714 426 PLN

**Tab. 20. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego maksymalnego vs scenariusz istniejący (bez RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu	14 070 008 PLN	21 066 730 PLN
Koszt chemioterapii i radioterapii	-97 509 PLN	-1 488 PLN
Koszt podania leczenia	692 967 PLN	1 166 454 PLN
Koszt monitorowania leczenia	98 895 PLN	285 875 PLN
Koszt opieki paliatywnej	-183 361 PLN	66 817 PLN
Koszty leczenia działań niepożądanych	-10 282 PLN	-10 282 PLN
Razem	14 570 718 PLN	22 574 106 PLN

### 3.5.2 Wariant analizy z RSS


**Tab. 21. Wyniki dla scenariusza nowego maksymalnego (z RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu		
Koszt chemioterapii i radioterapii		
Koszt podania leczenia		
Koszt monitorowania leczenia		
Koszt opieki paliatywnej		
Koszty leczenia działań niepożądanych		
Razem		

**Tab. 22. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego maksymalnego vs scenariusz istniejący (z RSS).**

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszt cetuksymabu		
Koszt chemioterapii i radioterapii		
Koszt podania leczenia		
Koszt monitorowania leczenia		
Koszt opieki paliatywnej		

Kategoria kosztów	Koszty	
	1. rok	2. rok
Koszty leczenia działań niepożądanych		
Razem		

## 4 Podsumowanie

W niniejszym dokumencie przedstawiono ilościowe prognozy rocznych wydatków płatnika publicznego (NFZ), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi w chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami, spełniających kryteria włączenia do programu lekowego [REDACTED]

przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją cetuksymabu w ramach programu lekowego. Analizę kosztów terapii lekiem Erbitux<sup>®</sup> przeprowadzono na tle kosztów samej chemioterapii złożonej ze związków platyny (cisplatyna bądź karboplatyna) i 5-fluorouracylu. Szacowano koszty leków (cetuksymabu oraz chemioterapii złożonej ze związków platyny i 5-fluorouracylu), koszty podania i monitorowania leczenia, koszty leczenia działań niepożądanych, a także koszty opieki paliatywnej. Ze względu na brak istotnego współpłacenia, analizę przeprowadzono jedynie z perspektywy płatnika publicznego. W analizie uwzględniono scenariusz najbardziej prawdopodobny oraz scenariusze minimalny i maksymalny, które uwzględniają niepewność szacunków związaną z liczebnością populacji docelowej. Model analizy oparto na założeniach i wynikach analizy ekonomicznej. Horyzont czasowy analizy objął 2 lata. Wyniki analizy przedstawiono dla dwóch wariantów refundacji cetuksymabu - nieuwzględniającego i uwzględniającego zaproponowane przez wnioskodawcę rozwiązania RSS.

W wariantcie nieuwzględniającym rozwiązań RSS, oszacowane dodatkowe koszty dla budżetu płatnika związane z wprowadzaniem refundacji cetuksymabu we wnioskowanej populacji wyniosły 11,32 mln PLN (8,07 mln od PLN do 14,57 mln PLN) i 17,54 mln PLN (od 12,50 mln PLN do 22,57 mln PLN) odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.



## 5 Ograniczenia i dyskusja

Do ograniczeń analizy należy niepewność szacunków dotyczących liczebności populacji docelowej (niepewność ta została zaadresowana w analizie scenariuszowej) oraz wykorzystanie danych pochodzących z modelu ekonomicznego. Należy jednak podkreślić, że wobec braku wiarygodnych danych o efektywności praktycznej wnioskowanej technologii dla populacji zdefiniowanej zapisami programu lekowego (zidentyfikowane prace: van der Linden 2016, Lynggaard 2015, de Mello 2014, nie zawierają danych specyficznych dla wnioskowanej populacji), wykorzystanie danych z modelu ekonomicznego, nie powinno stanowić znaczącego ograniczenia analizy, szczególnie, że horyzont niniejszej analizy wynosi 2 lata, co jest okresem krótszym niż obserwacje kliniczne, w oparciu o które budowano model analizy.

## 6 Wnioski



## Spis tabel

Tab. 1. Epidemiologia nowotworów głowy i szyi w Polsce - liczba nowych zachorowań i zgonów. ....	9
Tab. 2. Liczebność populacji pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w chorobie nawracającej i (lub) z przerzutami. ....	12
Tab. 3. Liczebność populacji docelowej wskazanej we wniosku. ....	14
Tab. 4. Liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją. ....	16
Tab. 5. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji. ....	17
Tab. 6. Zestawienie założeń scenariusza istniejącego analizy. ....	20
Tab. 7. Zestawienie założeń scenariuszy nowych analizy. ....	21
Tab. 8. Wyniki dla scenariusza istniejącego najbardziej prawdopodobnego (z RSS i bez RSS). ....	23
Tab. 9. Wyniki dla scenariusza istniejącego minimalnego (z RSS i bez RSS). ....	24
Tab. 10. Wyniki dla scenariusza istniejącego maksymalnego (z RSS i bez RSS). ....	24
Tab. 11. Wyniki dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego (bez RSS). ....	25
Tab. 12. Wyniki inkrementalne dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego vs scenariusz istniejący (bez RSS). ....	25
Tab. 13. Wyniki dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego (z RSS). ....	25
Tab. 14. Wyniki inkrementalne dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego vs scenariusz istniejący (z RSS). ....	26
Tab. 15. Wyniki dla scenariusza nowego minimalnego (bez RSS). ....	26
Tab. 16. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego minimalnego vs scenariusz istniejący (bez RSS). ....	27
Tab. 17. Wyniki dla scenariusza nowego minimalnego (z RSS). ....	27
Tab. 18. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego minimalnego vs scenariusz istniejący (z RSS). ....	28
Tab. 19. Wyniki dla scenariusza nowego maksymalnego (bez RSS). ....	28
Tab. 20. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego maksymalnego vs scenariusz istniejący (bez RSS). ....	29
Tab. 21. Wyniki dla scenariusza nowego maksymalnego (z RSS). ....	29
Tab. 22. Wyniki inkrementalne dla scenariusza nowego maksymalnego vs scenariusz istniejący (z RSS). ....	29

## Bibliografia

- AWA Erbitux rak jelita** [http://bipold.ao tm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2014/069/AWA/069\\_AWA\\_OT\\_4351\\_11\\_Ebitux\\_2014.06.18.pdf](http://bipold.ao tm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2014/069/AWA/069_AWA_OT_4351_11_Ebitux_2014.06.18.pdf) [Dostęp: 14.08.2018].
- CANCER TODAY de Mello 2014** <http://http://gco.ia rc.fr/today/home> [Dostęp: 14.08.2018].  
de Mello RA, Gerós S, Alves MP, Moreira F, Avezedo I, Dinis J. Cetuximab plus platinum-based chemotherapy in head and neck squamous cell carcinoma: a retrospective study in a single comprehensive European cancer institution. PLoS One. 2014 Feb 6 9(2):e86697.
- DGL** Komunikat DGL. [http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl\\_7228.html](http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl_7228.html) [Dostęp: 19.11.2018].
- KRN** Krajowy Rejestr Nowotworów.  
<http://onkologia.org.pl/nowotwory-narzadow-glowy-i-szyi/#q> [Dostęp: 14.08.2018].
- Lynggaard 2015** Lynggaard CD, Therkildsen MH, Kristensen CA, Specht L. The EXTREME regimen for recurrent/metastatic head and neck squamous cell carcinoma (R/M HNSCC): treatment outcome in a single institution cohort. Acta Oncol. 2015 Jul ;54(7):1071-5.
- PTO 2014** Polskie Towarzystwo Onkologiczne. Obecny Stan Zwalczania Nowotworów w Polsce. 16 maja 2014 (opracowane przez PWC) [https://pto.med.pl/content/download/7709/84400/file/Obecny\\_Stan.pdf](https://pto.med.pl/content/download/7709/84400/file/Obecny_Stan.pdf) [Dostęp: 14.08.2018].
- PTOK 2013** Zalecenia postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych – 2013 r. Nowotwory nabłonkowe narządów głowy i szyi.  
[http://onkologia.zalecenia.med.pl/pdf/PTOK\\_2013\\_01\\_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf](http://onkologia.zalecenia.med.pl/pdf/PTOK_2013_01_Nowotwory%20nablonkowe%20glowy%20i%20szyi.pdf) [Dostęp: 14.08.2018].
- Rozporządzenie MZ 2012** Rozporządzenie z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu
- Rozporządzenie PE i Rady 2014** <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014R0536&qid=1421232837997&from=EN> [Dostęp: 14.08.2018].
- Seiwert 2005** Seiwert TY, Cohen EEW. State-of-the-art management of locally advanced head and neck cancer. British Journal of Cancer (2005) 92, 1341 - 1348.
- Sprawozdanie NFZ 2017** Uchwała 2/2018/III. [http://nfz.gov.pl/zarzadzania-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-22018iii\\_6438.html](http://nfz.gov.pl/zarzadzania-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-22018iii_6438.html) [Dostęp: 14.08.2018].
- Ustawa refundacyjna 2011** 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)
- van der Linden 2016** van der Linden N, Buter J, Pescott CP, Lalibang RI, de Boer JP, de Graeff A, van Herpen CM, Baatenburg de Jong RJ, Uyl-de Groot CA. Treatments and costs for recurrent and/or metastatic

squamous cell carcinoma of the head and neck in the Netherlands.  
Eur Arch Otorhinolaryngol. 2016 Feb;273(2):455-64.