



# Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego

Analiza racjonalizacyjna

Warszawa, 2018

#### **Autorzy**



#### **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>

#### **Konflikt interesów**

Opracowanie przygotowane na zlecenie i finansowane przez Amicus Therapeutics.

#### **Zamawiający**

Amicus Therapeutics UK LTD  
Phoenix House, Oxford Road  
Tatling End, Gerrards Cross  
Buckinghamshire SL9 7AP  
United Kingdom

## Spis treści

Wykaz skrótów i akronimów .....	3
Słowa kluczowe .....	4
1 Wstęp.....	5
2 Cel raportu .....	8
3 Wyniki analizy wpływu na budżet .....	9
4 Proponowane rozwiązanie .....	12
5 Metody .....	13
6 Wyniki analizy racjonalizacyjnej .....	14
7 Podsumowanie .....	15
Spis rysunków .....	17
Spis tabel .....	18
Bibliografia .....	19

## Wykaz skrótów i akronimów

<b>DGL</b>	Departament Gospodarki Lekami
<b>ETZ</b>	enzymatyczna terapia zastępcza
<b>MIG</b>	migalastat
<b>MZ</b>	Minister Zdrowia
<b>NFZ</b>	Narodowy Fundusz Zdrowia
<b>PLA</b>	placebo
<b>SRChF</b>	Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego

## Słowa kluczowe

migalastat, choroba Fabry'ego, analiza racjonalizacyjna

# 1 Wstęp

Zgodnie z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. nr 122 poz. 696) analiza racjonalizacyjna powinna być przedkładana w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji (Ustawa refundacyjna). Analiza ta powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet.

W zakresie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych (w wąskim rozumieniu tych zapisów) można zidentyfikować następujące rozwiązania:

1. Likwidacja jednej lub więcej grup limitowych.
2. Zmiana definicji jednej lub więcej grup limitowych (redukcja liczby preparatów objętych grupą limitową, utworzenie nowej grupy limitowej, połączenie grup limitowych).
3. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych.
4. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych niestanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych w sposób, który spowodowałby, że leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyroby medyczne, których dotyczyłaby redukcja ceny detalicznej stałyby się podstawą limitów w swoich grupach limitowych.
5. Zmiana poziomu odpłatności pacjenta dla grupy limitowej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych na wyższy w stosunku do obecnie obowiązującego.

Analizując wymienione wyżej warianty można wyszczególnić rozwiązania, w których uwolnienie środków publicznych wiąże się ze wzrostem kosztów po stronie:

- pacjentów,
- podmiotów odpowiedzialnych,
- obu wymienionych wyżej grup.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie pacjentów należą rozwiązania opisane w punktach 1 i 5. Również rozwiązanie opisane w punkcie 2 (związanie z redukcją liczby preparatów objętych grupą limitową niesie ze sobą znaczne ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie podmiotów odpowiedzialnych należy rozwiązanie opisane w punkcie 2 (wycofanie preparatu), przy czym należy podkreślić, że w tym przypadku również istnieje ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta (np.

w przypadku, w którym pacjenci są przywiązani do leku, który został skreślony z listy refundacyjnej).

Pozostałe zaproponowane rozwiązania prowadzą w konsekwencji do obniżenia limitu w grupie limitowej (lub zwiększenia poziomu odpłatności pacjenta), przy czym konsekwencje (wzrost kosztów tj. w tym wypadku redukcja zysków) w założeniu powinny dotyczyć głównie podmiotów odpowiedzialnych zakładając, że pacjenci z definicji będą wybierali leki o niższych cenach. W przypadku istnienia innego niż cena mechanizmu wpływającego na preferencje pacjentów, przywiązanie do poszczególnych preparatów, których ceny są wyższe od preparatów stanowiących limit w grupie, przy obniżonym limicie będzie skutkowało zwiększeniem kosztów również po stronie pacjenta.

Opracowanie mechanizmu bazującego na rozwiązaniu wyłącznie z zakresu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego lub wyrobów medycznych, który spowoduje uwolnienie środków publicznych bez negatywnych konsekwencji dla pacjentów jest ograniczone. Jedynym mechanizmem, który nie powinien wpływać na wzrost kosztów po stronie pacjentów jest obniżenie cen wszystkich preparatów refundowanych w obrębie danej grupy limitowej. Przy czym należy podkreślić, że obniżenie cen wszystkich preparatów może nieproporcjonalnie w stosunku do cen detalicznych niektórych preparatów zmniejszyć limit w stopniu skutkującym wzrostem kosztów po stronie pacjenta.

Mając na uwadze opisane wyżej mechanizmy dot. uwolnienia środków publicznych należy podkreślić, że z praktycznego punktu widzenia, obniżenie ceny preparatu znajdującego się obecnie na liście refundacyjnej bądź usunięcie go z tej listy jest utrudnione ze względu na obowiązujące przepisy ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. W myśl ustawy (art. 33; Ustawa refundacyjna):

*1. Minister właściwy do spraw zdrowia uchyla decyzję administracyjną o objęciu refundacją leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, w przypadku:*

- 1) stwierdzenia braku deklarowanej skuteczności terapeutycznej;*
- 2) stwierdzenia ryzyka stosowania niewspółmiernego do efektu terapeutycznego;*
- 3) podważenia wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w art. 12 pkt 3-10;*
- 4) gdy zobowiązanie, o którym mowa w art. 25 pkt 4, nie zostanie dotrzymane w zakresie dotyczącym zapewnienia ciągłości dostaw lub rocznej wielkości dostaw, i nastąpi niezaspokojenie potrzeb świadczeniobiorców*

Minister Zdrowia podejmuje również decyzję o skróceniu czasu obowiązywania decyzji o refundacji lub zmianie ceny urzędowej w oparciu o wniosek, do którego złożenia uprawniony jest Wnioskodawca (podmiot odpowiedzialny, przedstawiciel podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne, wytwórca wyrobów medycznych, jego autoryzowany przedstawiciel, dystrybutor albo importer, w rozumieniu ustawy z dnia 20 maja 2010 r. o wyrobach medycznych (Dz. U. Nr 107, poz. 679), a także podmiot działający na rynku spożywczym; Ustawa refundacyjna).

W związku z powyższym, wykonanie analizy racjonalizacyjnej pokazującej rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, ograniczają przepisy, które warunkują uwolnienie tych środków decyzją wielu podmiotów, na które Wnioskodawca nie ma wpływu.

Ograniczenia formalne oraz trudne do przewidzenia mechanizmy i strategie rynkowe poszczególnych podmiotów, skutkują przyjęciem szeregu założeń. Stąd zaproponowane rozwiązanie racjonalizacyjne, niezależnie od jego typu, powinno być interpretowane zawsze w kontekście powyższych ograniczeń i przyjętych założeń.



## 2 Cel raportu

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia wykazała, że finansowanie ze środków publicznych stosowania migalastatu (Galafold®; MIG) w leczeniu dorosłych i młodzieży w wieku 16 lat i powyżej z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Fabry'ego (ICD-10 E75.21) z wrażliwą mutacją i spełniających kryteria włączenia do programu lekowego) w ramach programu lekowego związane jest z dodatkowymi obciążeniami budżetowymi niezależnie od przyjętego wariantu analizy.

Celem niniejszej analizy jest przedstawienie rozwiązania, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków finansowych płatnika publicznego w wysokości odpowiadającej dodatkowym kosztom finansowania migalastatu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu choroby Fabry'ego w dwóch kolejnych latach.

Według wytycznych praktyki klinicznej, obecnym standardem w leczeniu choroby Fabry'ego przed wprowadzeniem migalastatu była enzymatyczna terapia zastępcza (ETZ) przy użyciu agalzydazy  $\alpha$  i agalzydazy B. Oprócz ww. substancji, jedyną technologią zatwierdzoną w leczeniu choroby Fabry'ego jest migalastat.

W Polsce w analizowanym wskazaniu nie jest refundowana żadna substancja czynna. Enzymatyczna terapia zastępcza przy użyciu agalzydazy  $\alpha$  i agalzydazy B jest dostępna dla części chorych (26 na 73 zdiagnozowanych pacjentów w Polsce) w ramach leczenia charytatywnego na koszt producenta (SRChF 2018).

W związku z powyższym, uznano, że odpowiednimi komparatorami dla migalastatu w leczeniu choroby Fabry'ego w Polsce są naturalny przebieg choroby (brak aktywnego leczenia przyczynowego, tj. placebo, PLA; komparator podstawowy) oraz enzymatyczna terapia zastępcza w postaci agalzydazy  $\alpha$  i agalzydazy B (komparator dodatkowy).

Szczegółowe uzasadnienie wyboru komparatora przedstawiono w analizie problemu decyzyjnego (patrz: ██████████. Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego. Analiza problemu decyzyjnego, Warszawa, 2018).

W związku z powyższym w analizie przedstawiono osobno wyniki dwóch porównań podstawowego, w którym założono, że chorzy leczeni ETZ nie zmieniają terapii oraz dodatkowego, w którym założono, że część chorych leczonych ETZ zmieni terapię na MIG.

Pomimo tego, iż enzymatyczna terapia zastępcza (agalzydaza  $\alpha$  i agalzydaza B) nie jest obecnie refundowana w Polsce, w porównaniu dodatkowym z ETZ uwzględniono koszty nabycia ETZ na podstawie opublikowanych cen z kraju o zbliżonym PKB per capita do Polski, mając na celu zobrazowanie płatnikowi sytuacji, w której ETZ znalazłoby się na liście refundacyjnej. Sytuacja ta jest prawdopodobna w związku z tym, iż trwa ocena Replagalu® przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT; Zlecenie Ministra Zdrowia, MZ nr 156/2018), a w przypadku uzyskania pozytywnej decyzji refundacyjnej dla Replagalu® najprawdopodobniej zostanie również złożony wniosek dla Fabrazyme®.

### 3 Wyniki analizy wpływu na budżet

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) w 2-letnim horyzoncie czasowym (patrz [redacted] Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego. Analiza wpływu na budżet. Warszawa, 2018.).

Wielkość docelowej populacji pacjentów oszacowano w oparciu o: raport na temat sytuacji chorych na chorobę Fabry'ego w Polsce (wg którego w Polsce jest 73 zdiagnozowanych osób z chorobą Fabry'ego, w tym 26 leczonych enzymatyczną terapią zastępczą; SRChF 2018) oraz opinię eksperta klinicznego wyrażoną na Komisji Senackiej na temat chorób Pompego, Gaucher'a i Fabry'ego (wg opinii eksperta 50 pacjentów z chorobą Fabry'ego kwalifikowałoby się do leczenia aktywnego; Komisja Senacka). W związku ze specyfiką choroby Fabry'ego (przewlekła choroba sieroca) liczebność chorych w kolejnych latach jest stała. Liczebność chorych kwalifikujących się do leczenia migalastatem oraz ustalono w oparciu o odsetek chorych z mutacją wrażliwą (35%-50%) przyjęty według danych literaturowych (Hughes 2017) - założono, że jest on taki sam w obu latach analizy. Do wariantu podstawowego analizy przyjęto wartość średnią tego odsetka (42,5%), do wariantu minimalnego - dolną wartość zakresu (35%), a do wariantu maksymalnego - górną wartość zakresu (50%).

W analizie wpływu na budżet przedstawiono osobno wyniki dwóch porównań (w nawiasach podano liczebność chorych przyjętą w wariantach podstawowym/ minimalnym i maksymalnym analizy w I i II roku analizy):

- podstawowego, w którym założono, że chorzy leczeni ETZ nie zmieniają terapii:
  - o scenariusz istniejący: chorzy nieleczeni aktywnie (liczebność odpowiada liczbie chorych, którzy w scenariuszu nowym zmieniają terapię na MIG; tj. 10/8/12 chorych);
  - o scenariusz nowy: chorzy leczeni migalastatem (tj. chorzy ze scenariusza istniejącego nieleczeni aktywnie, kwalifikujący się do leczenia MIG - 10/8/12 chorych);
- oraz dodatkowego, w którym założono, że część chorych leczonych ETZ zmieni terapię na MIG:
  - o scenariusz istniejący: chorzy nieleczeni aktywnie i leczeni enzymatyczną terapią zastępczą (liczebność odpowiada liczbie chorych, którzy w scenariuszu nowym zmieniają terapię na MIG; tj. 10/8/12 chorych w grupie PLA i 11/9/13 chorych w grupie ETZ);
  - o scenariusz nowy: chorzy leczeni migalastatem (w tym chorzy ze scenariusza istniejącego nieleczeni aktywnie, kwalifikujący się do leczenia MIG -10/8/12 chorych i chorzy ze scenariusza istniejącego leczeni ETZ, kwalifikujący się do leczenia MIG - 11/9/13 chorych).

Dane kosztowe w analizie wpływu na budżet oparto na wynikach modelu ekonomicznego dla pierwszych 2 lat analizy przy założeniu braku dyskontowania - dla PLA i MIG stosowanego u chorych wcześniej nieleczonych aktywnie przyjęto koszty z analizy kosztów-użyteczności, a dla ETZ i MIG stosowanego u chorych leczonych wcześniej ETZ przyjęto koszty z analizy

minimalizacji kosztów (patrz [REDAKTOWANE] Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego. Analiza ekonomiczna. Warszawa, 2018.).

W analizie wpływu na budżet uwzględniono następujące koszty:

- koszt nabycia leków;
- koszt podania leków;
- koszty standardowego monitorowania;
- koszty stanów/powikłań w pierwszym roku;
- koszty stanów/powikłań w kolejnych latach;
- koszty leczenia zdarzeń niepożądanych (ZN).

Wnioskowane warunki objęcia refundacją migalastatu obejmują utworzenie nowego programu lekowego w ramach katalogu B. Leki dostępne w ramach programu lekowego, przy wysokości limitu finansowania na poziomie ceny hurtowej brutto (poziom refundacji 100%, kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatne).

Wnioskowana w analizowanym wskazaniu cena zbytu netto migalastatu wynosi [REDAKTOWANE] PLN za opakowanie zawierające 14 kapsułek.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia wykazała, że finansowanie ze środków publicznych migalastatu związane jest z dodatkowymi obciążeniami budżetowymi. Największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ w I i II roku analizy uzyskano w ramach wariantu maksymalnego - patrz tabele poniżej.

**Tab. 1. Wyniki analizy wpływu na budżet - porównanie podstawowe ^.**

Wariant/scenariusz	I rok	II rok
Wariant podstawowy	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
Wariant minimalny	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
Wariant maksymalny*	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
Scenariusz wrażliwości nr 1**	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
Scenariusz wrażliwości nr 2**	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
Scenariusz wrażliwości nr 3**	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

^ tj. przy założeniu, że chorzy leczeni ETZ nie zmieniają terapii; \* największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ; \*\* opis scenariuszy wrażliwości patrz analiza wpływu na budżet ([REDAKTOWANE] Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego. Analiza wpływu na budżet. Warszawa, 2018.).



## 4 Proponowane rozwiązanie

W ramach analizy racjonalizacyjnej wykorzystano możliwość obniżenia limitu finansowania, który wynikać będzie z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie stosowanej substancji: rytuksymabu (MabThera®; grupa limitowa 1035.0; Obwieszczenie MZ).

Istnieje wiele preparatów biopodobnych dla rytuksymabu (produkt oryginalny: MabThera®; GaBI rituximab), spośród których preparat Truxima® został zarejestrowany przez EMA w grudniu 2016 r. w leczeniu chłoniaka nieziarniczego, przewlekłej białaczki limfocytowej, reumatoidalnego zapalenia stawów, ziarniniakowatości z zapaleniem wielomięśniowym i mikroskopowego zapalenia wielonaczyniowego (EMA rituximab).

Wybór leków wynika ze zbliżającego się terminu wygaśnięcia praw ochrony patentowej dla tej substancji czynnej, w związku z czym oszczędności będą generowane już od 2019 r. (GaBI patenty). W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, które mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Ustawa refundacyjna). Mając na uwadze specyfikę refundacji leków w programach lekowych (leki wydawane bezpłatnie), należy założyć, że wprowadzenie tańszego odpowiednika spowoduje automatyczne, natychmiastowe obniżenie ceny wszystkich leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do poziomu ceny wprowadzonego odpowiednika - w tym wypadku oznacza to co najmniej 25% redukcję obowiązującej ceny urzędowej leków będących przedmiotem niniejszej analizy.

Analizę pokazującą rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, oparto na mechanizmie opisanym w pkt. 3 rozdziału 1, tj. założeniu redukcji ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego).

Wybrane preparaty stosowane są w programach lekowych, co oznacza 100% poziom refundacji (kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatny). W związku z powyższym, obniżenie limitu finansowania leków ze środków publicznych nie spowoduje jednocześnie żadnych dodatkowych obciążeń dla świadczeniobiorców.

## 5 Metody

Analizę racjonalizacyjną przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego w horyzoncie 2 lat (I i II rok analizy wpływu na budżet).

Symulację przeprowadzono z uwzględnieniem jedynie bezpośrednich kosztów medycznych (patrz rozdz. 3), co wynika z braku wpływu proponowanego rozwiązania na inne obszary ochrony zdrowia.

W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, które mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedynego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Ustawa refundacyjna).

Roczne koszty refundacji leków przyjęto zgodnie z komunikatem Departamentu Gospodarki Lekami (DGL) za okres ostatnich 12 miesięcy, tj. czerwiec 2017 - maj 2018 (Komunikaty DGL).

Wyniki przedstawiono w ujęciu rocznym, które pokazuje proporcjonalne oszczędności (uwolnienie środków) wynikające z redukcji cen leków będących przedmiotem analizy racjonalizacyjnej.

## 6 Wyniki analizy racjonalizacyjnej

Zgodnie z komunikatami Departamentu Gospodarki Lekami (Komunikaty DGL), określającymi wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii w ciągu ostatnich 12 miesięcy, łączne koszty refundacji rytuksymabu wyniosły 216,3 mln PLN, natomiast szacowane koszty refundacji po redukcji cen wyniosą 162,2 mln PLN.

W poniższej tabeli przedstawiono roczne koszty refundacji preparatów rytuksymabu oraz prognozowane oszczędności. Oszacowania przeprowadzono na podstawie komunikatów DGL za okres czerwiec 2017 - maj 2018 (Komunikaty DGL).

**Tab. 3. Roczne koszty refundacji rytuksymabu oraz prognozowane oszczędności.**

Lek	Redukcja ceny	Kwota refundacji w okresie ostatnich 12 mies., PLN	Kwota refundacji po redukcji cen, PLN	Oszczędności, PLN
Rytuksymab	25%	216 311 213	162 233 410	54 077 803

Szacowana kwota uwolnionych środków wyniesie 54,1 mln PLN rocznie, tj. łącznie 108,2 mln PLN w horyzoncie 2 lat. Jest to więc kwota wystarczająca na pokrycie wzrostu kosztów związanych z finansowaniem migalastatu w docelowej populacji chorych w kolejnych latach analizy (łącznie w dwóch latach ██████████ w przypadku porównania podstawowego ██████████ w przypadku porównania dodatkowego) - patrz tabela poniżej.

**Tab. 4. Wyniki analizy racjonalizacyjnej, PLN.**

Wariant/scenariusz	I rok	II rok	Łącznie
Porównanie podstawowe*			
Oszczędność	54 077 803	54 077 803	<b>108 155 606</b>
Dodatkowe wydatki	██████████	██████████	██████████
Różnica	██████████	██████████	██████████
Porównanie dodatkowe**			
Oszczędność	54 077 803	54 077 803	<b>108 155 606</b>
Dodatkowe wydatki	██████████	██████████	██████████
Różnica	██████████	██████████	██████████

\* tj. przy założeniu, że chorzy leczeni ETZ nie zmieniają terapii; \*\* tj. przy założeniu, że część chorych leczonych ETZ zmieni terapię.

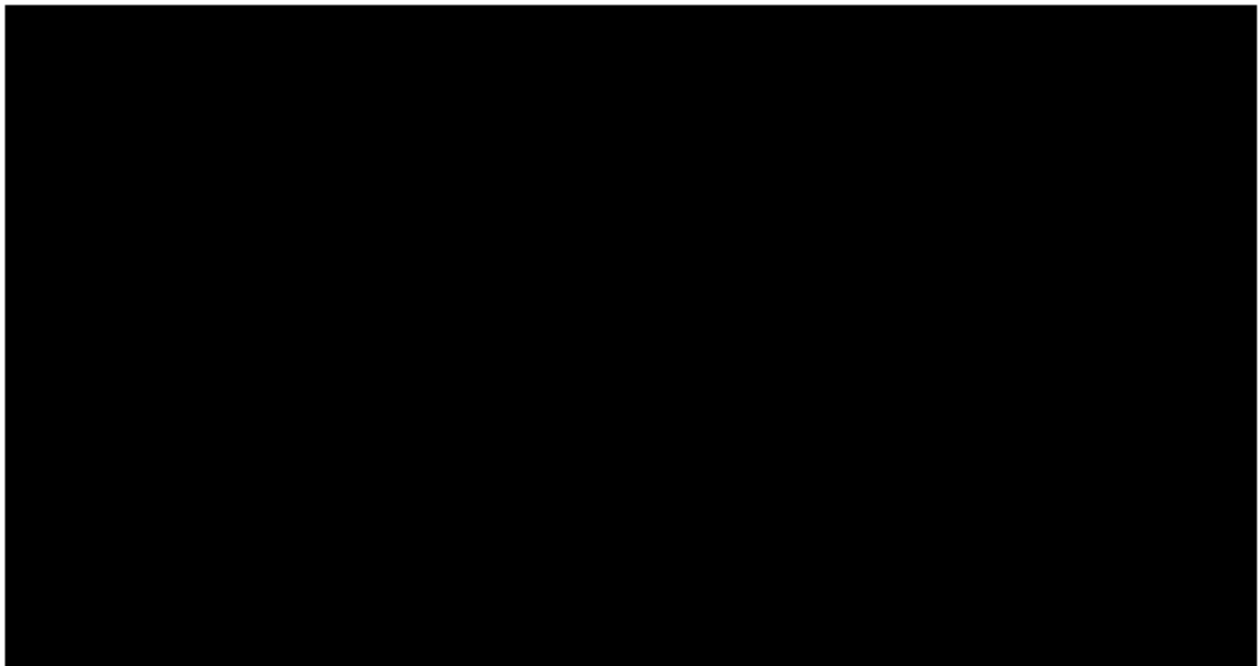
## 7 Podsumowanie

Potencjalne oszczędności dla płatnika publicznego w Polsce oszacowano na 54,1 mln PLN rocznie, a uwolnione środki mogą zostać wykorzystane na finansowanie ze środków publicznych migalastatu w ramach dedykowanego programu lekowego we wnioskowanym wskazaniu.

Na poniższym wykresie przedstawiono dodatkowe obciążenia budżetowe związane z finansowaniem migalastatu w docelowej populacji chorych w kolejnych 2 latach analizy (łącznie w dwóch latach ██████████ w przypadku porównania podstawowego i ██████████ w przypadku porównania dodatkowego) oraz prognozowane oszczędności z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników dla rytuksymabu (łącznie w dwóch latach ██████████ w przypadku porównania podstawowego i ██████████ w przypadku porównania dodatkowego).

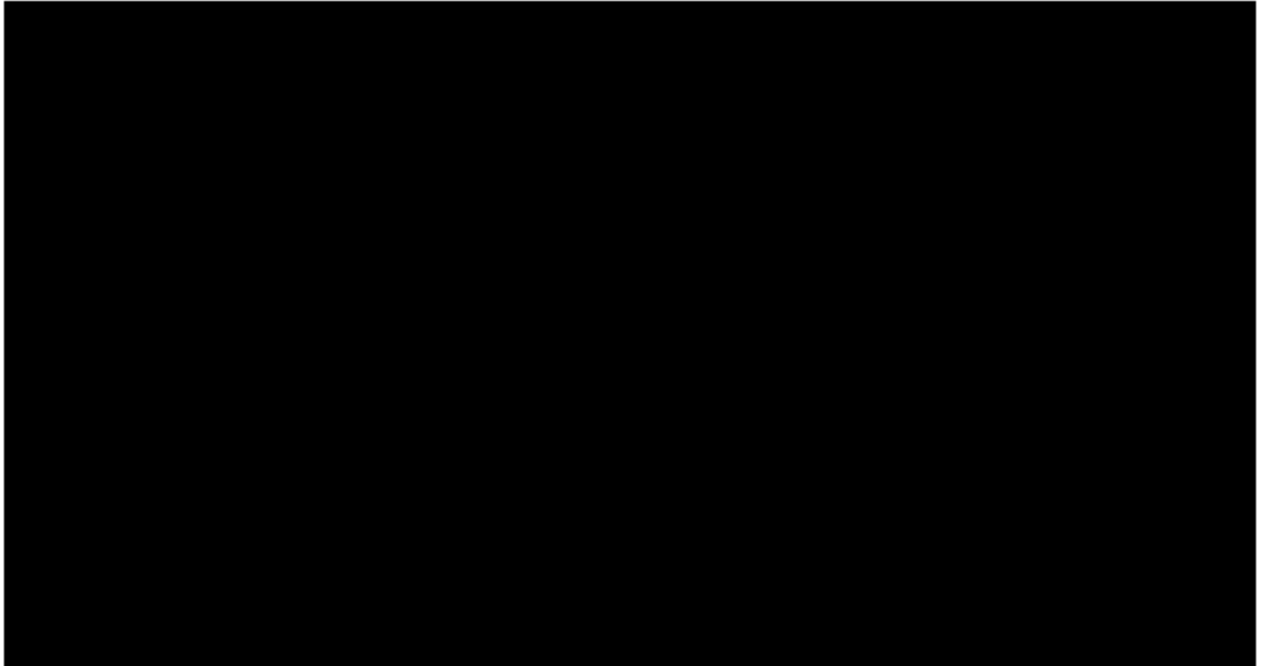
**Wygenerowane oszczędności będą wystarczające do pokrycia obciążeń budżetowych związanych z finansowaniem migalastatu w leczeniu choroby Fabry'ego w ramach programu lekowego.**

**Ryc. 1. Porównanie podstawowe (tj. przy założeniu, że chorzy leczeni ETZ nie zmieniają terapii): do dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach.**





**Ryc. 2. Porównanie dodatkowe (tj. przy założeniu, że część chorych leczonych ETZ zmieni terapię): dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach.**



## Spis rysunków

- Ryc. 1. Porównanie podstawowe (tj. przy założeniu, że chorzy leczeni ETZ nie zmieniają terapii): dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach..... 15
- Ryc. 2. Porównanie dodatkowe (tj. przy założeniu, że część chorych leczonych ETZ zmieni terapię): dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach..... 16

## Spis tabel

Tab. 1. Wyniki analizy wpływu na budżet - porównanie podstawowe^ . . . . .	10
Tab. 2. Wyniki analizy wpływu na budżet - porównanie dodatkowe^ . . . . .	11
Tab. 3. Roczne koszty refundacji rytuksymabu oraz prognozowane oszczędności. . . . .	14
Tab. 4. Wyniki analizy racjonalizacyjnej, PLN. . . . .	14

## Bibliografia

- Analiza ekonomiczna** [redacted] Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego. Analiza ekonomiczna. Warszawa, 2018.
- Analiza problemu decyzyjnego** [redacted] Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego. Analiza kliniczna. Warszawa, 2018.
- Analiza wpływu na budżet** [redacted] Migalastat (Galafold®) w leczeniu choroby Fabry'ego. Analiza wpływu na budżet. Warszawa, 2018.
- EMA rituximab** EMA. Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP). Truxima (rituximab). Summary of opinion (initial authorisation). EMA/CHMP/813387/2016. 15 December 2016. [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Summary\\_of\\_opinion\\_-\\_Initial\\_authorisation/human/004112/WC500218017.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Summary_of_opinion_-_Initial_authorisation/human/004112/WC500218017.pdf) [dostęp:27.08.2018 r.].
- GaBI patenty** Generics and Biosimilar Initiative. US\$54 billion worth of biosimilar patents expiring before 2020. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/Research/US-54-billion-worth-of-biosimilar-patents-expiring-before-2020> [dostęp:27.08.2018 r.].
- GaBI rituximab** GaBI. Biosimilars of rituximab. Posted 27/02/2015. Last update: 10 November 2017. <http://gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-rituximab> [dostęp:27.08.2018 r.].
- Hughes 2017** Hughes D, Nicholls K, Shankar S.P. et al. Oral pharmacological chaperone migalastat compared with enzyme replacement therapy in Fabry disease: 18-month results from the randomised phase III ATTRACT study; *J Med Genet*; 2017; 54: 288 - 296.
- Komisja Senacka** Komisja Senacka, <https://www.senat.gov.pl/prace/komisje-senackie/przebieg,7789,1.html> [dostęp: 27.08.2018 r.]
- Komunikaty DGL** Narodowy Fundusz Zdrowia, Aktualności Centrali. Komunikaty Departamentu Gospodarki Lekami, <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/> [dostęp: 17.08.2018 r.]
- Obwieszczenie MZ** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2018 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2018 r., <https://www.gov.pl/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych> [dostęp 17.08.2018 r.]
- SRChF 2018** Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego. Sytuacja chorych na chorobę Fabry'ego w Polsce; Warszawa; 2018; [http://www.fabry.org.pl/images/pdf/Raport\\_Sytuacja\\_chorych\\_na\\_chorob%C4%99\\_Fabryego\\_w\\_Polsce.pdf](http://www.fabry.org.pl/images/pdf/Raport_Sytuacja_chorych_na_chorob%C4%99_Fabryego_w_Polsce.pdf) [dostęp: 22.06.2018 r.]
- Ustawa refundacyjna** 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).