



IGNORANTIA NOCET

# Orkambi<sup>®</sup> (lumakaftor + iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy u chorych z homozygotyczną mutacją F508del genu CFTR

Analiza racjonalizacyjna  
Wersja 1.1

**Wykonawca:**

MAHTA Sp. z o.o.  
ul. Rejtana 17/5  
02 - 516 Warszawa  
Tel. +48 533 399 146  
E-mail: [biuro@mahta.pl](mailto:biuro@mahta.pl)

**Przygotowano dla:**

Vertex Pharmaceuticals (Poland) Sp. z o.o.

Warszawa, 31.01.2019 r.

Osoby do kontaktu:

**Cezary Pruszko**

tel.: +48 602 10 44 55  
[cezary.pruszko@mahta.pl](mailto:cezary.pruszko@mahta.pl)

**Michał Jachimowicz**

tel.: +48 608 555 595  
[michal.jachimowicz@mahta.pl](mailto:michal.jachimowicz@mahta.pl)

**MAHTA Sp. z o.o.**

Warszawa 02-516  
ul. Tadeusza Rejtana 17

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

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

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

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

Autorzy	Wykonywane zadania
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none"><li>• Opracowanie koncepcji analizy;</li><li>• Kontrola jakości;</li></ul>
[REDACTED]	<ul style="list-style-type: none"><li>• Opracowanie wyników;</li><li>• Wnioski końcowe</li></ul>

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez Cezarego Pruszko i Michała Jachimowicza.

**Konflikt interesów:**

Raport wykonano na zlecenie firmy Vertex Pharmaceuticals (Poland) Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Kontakt do zleceniodawcy: [REDACTED]

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

---

## Spis treści

<b>Indeks skrótów .....</b>	<b>4</b>
<b>1. Cel analizy racjonalizacyjnej .....</b>	<b>5</b>
<b>2. Metodyka.....</b>	<b>5</b>
<b>3. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego .....</b>	<b>6</b>
<b>4. Wyniki analizy racjonalizacyjnej.....</b>	<b>9</b>
<b>5. Podsumowanie i wnioski .....</b>	<b>10</b>
<b>6. Spis tabel .....</b>	<b>11</b>
<b>7. Bibliografia .....</b>	<b>12</b>

---

## Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka

## 1. Cel analizy racjonalizacyjnej

Analiza racjonalizacyjna ma na celu wskazanie takich rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, które spowodują uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów ponoszonych przez podmiot zobowiązany do finansowania świadczeń ze środków publicznych, w związku z decyzją o zakwalifikowaniu leku Orkambi® (lumakaftor+iwakaftor) do finansowania ze środków publicznych w leczeniu mukowiscydozy u chorych z homozygotyczną mutacją F508del genu CFTR.

[Redacted text block]

## 2. Metodyka

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

### 3. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

**Tabela 1.**  
**Część horyzontu, w którym generowane będą oszczędności dla płatnika publicznego w zależności od daty wydania decyzji refundacyjnej**



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]



## 4. Wyniki analizy racjonalizacyjnej

[Redacted text block]

**Tabela 2.**  
Wyniki analizy racjonalizacyjnej (PLN)

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

[Redacted text block]

**Tabela 3.**  
Inkrementalny wynik *Analizy racjonalizacyjnej* oraz *Analizy wpływu na system ochrony zdrowia* [PLN]

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

---

## 5. Podsumowanie i wnioski

W przeprowadzonej analizie racjonalizacyjnej przedstawiono rozwiązania, których wprowadzenie pozwoli na osiągnięcie znacznych oszczędności w budżecie płatnika publicznego. Oszczędności wykazane w analizie umożliwią pokrycie kosztów związanych z rozpoczęciem finansowania technologii wnioskowanej.

---

---

## 6. Spis tabel

Tabela 1. Część horyzontu, w którym generowane będą oszczędności dla płatnika publicznego w zależności od daty wydania decyzji refundacyjnej.....	8
Tabela 2. Wyniki analizy racjonalizacyjnej (PLN).....	9
Tabela 3. Inkrementalny wynik <i>Analizy racjonalizacyjnej</i> oraz <i>Analizy wpływu na system ochrony zdrowia</i> [PLN] .....	9

---

## 7. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Analiza wpływu na system ochrony zdrowia	<p><b>[REDAKTED]</b> Orkambi® (lumakaftor+iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy u chorych z homozygotyczną mutacją F508del genu CFTR. <i>Analiza wpływu na system ochrony zdrowia</i></p>
Dane refundacyjne NFZ	<p>Narodowy Fundusz Zdrowia, Komunikat DGL: Wartość refundacji cen leków według kodów EAN (styczeń – sierpień 2018)</p>
Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań	<p>Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu</p>
Ustawa o refundacji	<p>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</p>
Wykaz leków refundowanych	<p>Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 27 grudnia 2018 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 stycznia 2019 r.</p>