

## ANALIZA RACJONALIZACYJNA

Wersja 1.0



**MIDOSTAURYNA (RYDAPT®) W LECZENIU DOROSŁYCH  
PACJENTÓW Z AGRESYWNĄ MASTOCYTOZĄ UKŁADOWĄ,  
MASTOCYTOZĄ UKŁADOWĄ Z NOWOTWOREM UKŁADU  
KRWIOTWÓRCZEGO LUB BIAŁACZKĄ MASTOCYTARNĄ**



## **HTA Consulting Spółka z Ograniczoną Odpowiedzialnością Spółka Komandytowa**

ul. Starowiślna 17/3  
31-038 Kraków  
Tel.: +48 (0) 12 421-88-32;  
Faks: +48 (0) 12 395-38-32  
www.hta.pl

Projekt zakończono: 28 września 2018 r.

Kierownik projektu: ██████████

Autorzy:

██████████

opracowanie arkusza MS Excel, opracowanie tekstu analizy

██████████

metodyka analizy

Zgodnie z procedurami firmy HTA Consulting analizę poddano wewnętrznej kontroli jakości w następujących obszarach:

Kontrola obliczeń: ██████████

Korekta językowa: ██████████

Kontrola merytoryczna: ██████████

Powielanie tego dokumentu w całości, w częściach jak również wykorzystywanie całości tekstu lub jego fragmentów wymaga zgody właściciela praw majątkowych oraz podania źródła.

Analiza została sfinansowana i przeprowadzona na zlecenie:

### **Novartis Poland Sp. z o.o.**

Ul. Marynarska 15  
02-674 Warszawa

## Spis treści

<b>STRESZCZENIE .....</b>	<b>4</b>
<b>1. CEL ANALIZY .....</b>	<b>5</b>
<b>2. WYDATKI PŁATNIKA ZWIĄZANE Z REFUNDACJĄ RYDAPT® .....</b>	<b>5</b>
<b>3. OSZCZĘDNOŚCI PŁATNIKA POZWALAJĄCE NA POKRYCIE WYDATKÓW ZWIĄZANYCH Z REFUNDACJĄ PRODUKTU RYDAPT® .....</b>	<b>6</b>
<b>4. PODSUMOWANIE .....</b>	<b>10</b>
<b>5. WNIOSKI .....</b>	<b>11</b>
<b>6. BIBLIOGRAFIA .....</b>	<b>12</b>
<b>7. SPIS ELEMENTÓW .....</b>	<b>13</b>
<b>8. ZESTAWIENIE WERYFIKACYJNE ANALIZY ZE WZGLĘDU NA MINIMALNE WYMAGANIA MINISTERSTWA ZDROWIA.....</b>	<b>14</b>

## Streszczenie

### ■ Cel

Celem analizy jest wskazanie oszczędności pozwalających na pokrycie wydatków związanych z refundacją produktu leczniczego Rydapt® (midostauryna) stosowanego w populacji dorosłych pacjentów z agresywną mastocytozą układową (ASM, ang. *aggressive systemic mastocytosis*), mastocytozą układową z nowotworem układu krwiotwórczego (SM-AHN, ang. *systemic mastocytosis with an associated hematological neoplasm*) lub białaczką mastocytarną (MCL, ang. *mast cell leukemia*).

### ■ Proponowane źródła oszczędności płatnika publicznego

Przedstawione zostały dwa źródła oszczędności pozwalające na pokrycie wydatków związanych z finansowaniem produktu leczniczego Rydapt® w ramach programu lekowego. Głównym źródłem oszczędności będzie obniżenie limitu finansowania spowodowane wprowadzeniem do refundacji pierwszych odpowiedników generycznych i biopodobnych po wygaśnięciu ochrony patentowej leków oryginalnych oraz upływie okresu wyłączności rynkowej. Natomiast drugim źródłem oszczędności będzie obniżenie cen leków refundowanych w lecznictwie zamkniętym, dla których wydane zostaną kolejne decyzje administracyjne.

### ■ Wyniki

[Redacted content]

### ■ Wnioski końcowe

Dodatkowe wydatki płatnika publicznego związane z refundacją produktu leczniczego Rydapt® mogą zostać pokryte w całości z oszczędności związanych z obniżeniem limitu finansowania w przedstawionych w niniejszej analizie grupach limitowych spowodowanym wprowadzeniem do refundacji pierwszych odpowiedników generycznych i biopodobnych po wygaśnięciu ochrony patentowej leków oryginalnych oraz upływie okresu wyłączności rynkowej, a także z obniżenia cen leków przy wydawaniu kolejnych decyzji refundacyjnych.

## 1. Cel analizy

Celem analizy jest wskazanie oszczędności pozwalających na pokrycie wydatków związanych z refundacją produktu leczniczego Rydapt® (midostauryna) stosowanego w populacji dorosłych pacjentów z agresywną mastocytozą układową (ASM, ang. *aggressive systemic mastocytosis*), mastocytozą układową z nowotworem układu krwiotwórczego (SM-AHN, ang. *systemic mastocytosis with an associated hematological neoplasm*) lub białaczką mastocytną (MCL, ang. *mast cell leukemia*).

## 2. Wydatki płatnika związane z refundacją Rydapt®

Koszty midostauryny określono na podstawie informacji uzyskanej od Zamawiającego (Tabela 1).


Tabela 1.  
Koszty jednostkowe midostauryny



Łączne dodatkowe wydatki (wydatki inkrementalne) płatnika publicznego związane z finansowaniem produktu leczniczego Rydapt® zaprezentowano w poniższej tabeli (Tabela 2).

Tabela 2.  
Koszty inkrementalne płatnika publicznego [1]

Kategoria kosztowa	2019	2020
Rydapt		
Kladrybina		
Interferon alfa		
DA		
Pozostałe koszty		

Kategoria kosztowa	2019	2020
Podanie leku	[REDAKTED]	[REDAKTED]
Diagnostyka i monitorowanie	[REDAKTED]	[REDAKTED]
Kolejna linia leczenia	[REDAKTED]	[REDAKTED]
Opieka terminalna	[REDAKTED]	[REDAKTED]
Zdarzenia niepożądane	[REDAKTED]	[REDAKTED]
Choroby współistniejące	[REDAKTED]	[REDAKTED]
<b>Łącznie</b>	[REDAKTED]	[REDAKTED]

### 3. Oszczędności płatnika pozwalające na pokrycie wydatków związanych z refundacją produktu Rydapt®

Zgodnie z ustawą wniosek powinien zawierać: „analizę racjonalizacyjną przedkładaną w przypadku gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji; analiza ta powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet” [2].

Przedłożona analiza racjonalizacyjna zawiera propozycje rozwiązań, dzięki którym zostaną uwolnione środki publiczne.

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[REDAKTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

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



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

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

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

[redacted]

[redacted]

[Redacted content]

#### 4. Podsumowanie

[Redacted content]

Tabela 7.  
Podsumowanie analizy racjonalizacyjnej

Kategoria	2019	2020
Rydapt	[Redacted]	[Redacted]
Kladrybina	[Redacted]	[Redacted]
Interferon alfa	[Redacted]	[Redacted]

Kategoria	2019	2020
DA		
Pozostałe koszty		
Podanie leku		
Diagnostyka i monitorowanie		
Kolejna linia leczenia		
Opieka terminalna		
Zdarzenia niepożądane		
Choroby współistniejące		
<b>Wydatki całkowite</b>		
Oszczędności wynikające z wejścia pierwszych odpowiedników		
Oszczędności NFZ związane z obniżeniem cen przy wydaniu nowych decyzji		
<b>Łączne oszczędności NFZ</b>		
<b>Wyniki inkrementalne z uwzględnieniem proponowanych oszczędności</b>		

## 5. Wnioski

Dodatkowe wydatki płatnika publicznego związane z refundacją produktu leczniczego Rydapt® mogą zostać pokryte w całości z oszczędności związanych z obniżeniem limitu finansowania w przedstawionych w niniejszej analizie grupach limitowych spowodowanym wprowadzeniem do refundacji pierwszych odpowiedników po wygaśnięciu ochrony patentowej leków oryginalnych, obniżeniem cen preparatów po wygaśnięciu wyłączności rynkowej oraz obniżeniem cen realnych leków w kolejnych decyzjach refundacyjnych.

## 6. Bibliografia

1. ██████████ Analiza wpływu na budżet. Midostauryna (Rydapt®) w leczeniu dorosłych pacjentów z agresywną mastocytosą układową, mastocytosą układową z nowotworem układu krwiotwórczego lub białaczką mastocytarną. HTA Consulting 2018.
2. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dostęp: <http://prawo.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20111220696&type=3> (6.3.2018).
3. Biologicals patent expiries / General / Biosimilars / Home - GaBI Online - Generics and Biosimilars Initiative. Dostęp: <http://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biologicals-patent-expiries> (30.7.2018).
4. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2018 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dostęp: <http://dziennikmz.mz.gov.pl/#/legalact/2018/67/> (27.9.2018).
5. Applications for new human medicines under evaluation by the Committee for Medicinal Products for Human Use - November 2017 - WC500237862.pdf. Dostęp: [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Report/2017/10/WC500237862.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2017/10/WC500237862.pdf) (27.7.2018).
6. IKAR pro. Dostęp: <http://www.ikarpro.pl/> (27.7.2018).

## 7. Spis elementów

Tabela 1.	Koszty jednostkowe midostauryny .....	5
Tabela 2.	Koszty inkrementalne płatnika publicznego [1].....	5
<b>[REDAKTOWANE]</b>	<b>[REDAKTOWANE]</b> .....	7
<b>[REDAKTOWANE]</b>	<b>[REDAKTOWANE]</b> .....	8
<b>[REDAKTOWANE]</b>	<b>[REDAKTOWANE]</b> .....	9
<b>[REDAKTOWANE]</b>	<b>[REDAKTOWANE]</b> .....	10
Tabela 7.	Podsumowanie analizy racjonalizacyjnej.....	10
Tabela 8.	Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 02.04.2012 r. dla analizy racjonalizacyjnej.....	14

## 8. Zestawienie weryfikacyjne analizy ze względu na minimalne wymagania ministerstwa zdrowia

**Tabela 8.**  
**Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 02.04.2012 r. dla analizy racjonalizacyjnej**

Wymaganie	Rozdział	Strona/Tabela
<b>§ 2.</b>		
<i>Informacje zawarte w analizach muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku, co najmniej w zakresie skuteczności, bezpieczeństwa, cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych.</i>		
<b>§ 7.1 Analiza racjonalizacyjna zawiera:</b>		
1. przedstawienie rozwiązań, o których mowa w art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte oraz w art. 26 pkt 2 lit. j ustawy wraz z oszacowaniami dowodzącymi zasadności tych rozwiązań	Rozdz. 3 <b>Błąd! Nie można odnaleźć źródła odwołania.</b>	str. 6
1. zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań (...)	Dostępne w arkuszu Excel	
2. wyszczególnienie wszystkich założeń, na podstawie których dokonano oszacowań (...)	Rozdz. 3 <b>Błąd! Nie można odnaleźć źródła odwołania.</b>	str. 6
3. dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyn ku których uzyskano oszacowania (...)	Załączono	
<b>§ 7.2</b>		
Jeżeli rozwiązania, o których mowa w ust. 1 pkt 1, obejmują tworzenie odrębnych grup limitowych dla refundowanych technologii, analiza racjonalizacyjna zawiera wskazanie dowodów, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy.	Nie dotyczy	
<b>§ 7.3</b>		
Jeżeli rozwiązania, o których mowa w ust. 1 pkt 1, obejmują kwalifikację refundowanych technologii do wspólnej grupy limitowej, analiza racjonalizacyjna zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust. 2 ustawy i wymogu, o którym mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy.	Nie dotyczy	