

# Analiza wpływu na budżet

## aktualizacja wyników

### Nexavar<sup>®</sup> (sorafenib)

w leczeniu postępującego, miejscowo zaawansowanego lub z przerzutami, zróżnicowanego raka tarczycy, opornego na leczenie jodem radioaktywnym:

- brodawkowatego
- pęcherzykowego
- oksyfilnego (z komórek Hürthle'a)

## Wykonawca

---

Aestimo s.c. Marcin Kaczor, Rafał Wójcik  
ul. Krakowska 36/3  
31-062 Kraków  
Tel./fax. 12 430 08 73  
Tel. kom. 608 392 029, 728 993 999  
Internet: <http://www.aestimo.eu>  
E-mail: [biuro@aestimo.eu](mailto:biuro@aestimo.eu)

## Autorzy

---

Dr med. Marcin P. Kaczor  
Mgr Dariusz Pawlik  
Mgr Jacek Wieczorek  
Mgr Rafał Wójcik

## Konflikt interesów

---

Raport został wykonany na zlecenie i sfinansowany przez firmę Bayer Sp. z o.o.  
Autorzy nie zgłosili konfliktu interesów.

Wersja 1.0 – ostatnia aktualizacja dnia 28 stycznia 2020 r.

Nexavar® (sorafenib)

w leczeniu postępującego, miejscowo zaawansowanego lub z przerzutami, zróżnicowanego raka tarczycy (brodawkowego/pęcherzykowego/oksyfilnego [z komórek Hürthle'a]), opornego na leczenie jodem radioaktywnym

## Spis treści

3	Populacja docelowa.....	4
7	Wyniki analizy wpływu na budżet.....	6
7.1	Wariant podstawowy.....	7
7.1.1	Analiza z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	7
7.1.2	Analiza bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka .....	8
7.2	Wariant minimalny .....	9
7.2.1	Analiza z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	9
7.2.2	Analiza bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka .....	10
7.3	Wariant maksymalny .....	11
7.3.1	Analiza z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	11
7.3.2	Analiza bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka .....	12
8	Podsumowanie wyników analizy .....	12

### 3 Populacja docelowa

W ramach aktualizacji analizy wpływu na budżet w odpowiedzi na pismo wzywające do uzupełnienia analiz w kwestii wymagań minimalnych (znak: OT.4331.68.2019.AKJ.2) w analizie dokonano zmian w założeniach dotyczących podziału rynku w scenariuszu aktualnym.

W oryginalnej analizie założono, że w scenariuszu aktualnym nie występują pacjenci leczeni z wykorzystaniem sorafenibu w populacji docelowej, zgodnej z wnioskowanym wskazaniem. Celowo tym samym pominięto kwestię dostępności leku Nexavar w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Leczniczych (RDTL). Takie postępowanie przeszacowywało wpływ na budżet płatnika publicznego (na niekorzyść leku Nexavar), a więc było to postępowanie konserwatywne. Zdecydowano się na takie podejście, ze względu na brak oficjalnie publikowanych przez Ministerstwo Zdrowia, bądź też Narodowy Fundusz Zdrowia informacji dotyczących ilości pacjentów leczonych w ramach programu RDTL, co uniemożliwia wiarygodne oszacowanie tej wielkości. Jako, że wraz ze wzrostem udziałów sorafenibu stosowanego w ramach RDTL w scenariuszu aktualnym spadają wydatki inkrementalne pomiędzy scenariuszem nowym a aktualnym, w ramach oszacowania parametru tego parametru przyjęto wartość skrajnie konserwatywną, czyli 0% udziałów sorafenibu w scenariuszu aktualnym.

W odpowiedzi na uwagę analityków Agencji, po konsultacjach z Wnioskodawcą (firmą Bayern sp. z o.o) i otrzymaniem szacunków dotyczących ilości pacjentów aktualnie leczonych lekiem Nexavar w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Leczniczych w rozważanym wskazaniu, przeliczono wyniki analizy wpływu na budżet, uwzględniając powyższe szacunki.

Zgodnie z danymi otrzymanymi od Wnioskodawcy aktualnie leczonych z wykorzystaniem leku Nexavar w ramach RDTL jest ■■■ pacjentów. Należy jednak podkreślić, że jest to wartość szacunkowa, niemożliwa do walidacji, ze względu na brak oficjalnie publikowanych danych MZ i NFZ, dodatkowo sam Wnioskodawca stwierdził, że jest to wartość minimalna, jako, że posiada on dane wyłącznie z współpracujących z nim ośrodków, co przedstawia Tabela 1.

Tabela 1. Informacje od Wnioskodawcy na temat liczby pacjentów leczonych lekiem Nexavar w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Leczniczych (deklaracje lekarzy).

Ośrodek	Liczba pacjentów leczonych lekiem Nexavar w ramach RDTL
██████	█
██████	█
██████	█
██████	█
<b>łącznie</b>	█

Uwzględnienie tej grupy pacjentów w scenariuszu aktualnym polegało na założeniu, że spośród 150 pacjentów rozpoczynających leczenie w pierwszym i 155 pacjentów w drugim roku, u █ stosowany jest sorafenib (w ramach RDTL). Pozostałych, odpowiednio █ pacjentów w pierwszym i █ pacjentów w drugim roku horyzontu czasowego rozdzielono pomiędzy leczenie wyłącznie objawowe i paliatywną radioterapią, zgodnie z odsetkami przyjętymi w oryginalnej analizie, tzn. w proporcji 65% BSC i 35% RTH.

W kolejnej tabeli przedstawiono strukturę rynku leczenia zaawansowanego, zróżnicowanego raka tarczycy opornego na leczenie jodem radioaktywnym w scenariuszu aktualnym, po uwzględnieniu pacjentów leczonych sorafenibem w ramach RDTL (tabela ta odpowiada tabeli numer 5 przedstawionej na stronie 23 oryginalnego dokumentu).

Tabela 2. Struktura leczenia – wariant podstawowy, scenariusz istniejący.

Strategia	Liczba wszystkich leczonych w danym roku <sup>1)</sup>	Liczba nowych pacjentów w danym roku	Liczba miesięcy aktywnego leczenia	Liczba pacjentomiesięcy w stanie PFS	Liczba pacjentomiesięcy w stanie progresji
<b>Rok 1</b>					
Sorafenib	█	█	█	█	█
Wyłącznie BSC	█	█	█	█	█
Radioterapia paliatywna	█	█	█	█	█
<b>RAZEM</b>	█	█	█	█	█

Nexavar® (sorafenib)

w leczeniu postępującego, miejscowo zaawansowanego lub z przerzutami, zróżnicowanego raka tarczycy (brodawkowatego/pęcherzykowatego/oksyfilnego [z komórek Hürthle'a]), opornego na leczenie jodem radioaktywnym

Strategia	Liczba wszystkich leczonych w danym roku <sup>1)</sup>	Liczba nowych pacjentów w danym roku	Liczba miesięcy aktywnego leczenia	Liczba pacjento-miesięcy w stanie PFS	Liczba pacjento-miesięcy w stanie progresji
Rok 2					
Sorafenib	■	■	■	■	■
Wyłącznie BSC	■	■	■	■	■
Radioterapia paliatywna	■	■	■	■	■
<b>RAZEM</b>	■	■	■	■	■

<sup>1)</sup> Liczba pacjentów, którzy otrzymali w danym roku co najmniej 1 cykl sorafenibu (dla strategii: Sorafenib), BSC (dla strategii: BSC) i RTH (dla strategii: Radioterapia paliatywna); w zestawieniu nie wliczono pacjentów leczonych uprzednio (we wcześniejszych latach) sorafenibem lub RTH, którzy w danym roku otrzymali wyłącznie BSC

Pozostałe założenia analizy wpływu na budżet pozostały bez zmian względem oryginalnej analizy.

## 7 Wyniki analizy wpływu na budżet

Wyniki analizy przedstawiono w trzech wariantach:

- Wariacie podstawowym (najbardziej prawdopodobnym),
- Wariacie minimalnym,
- Wariacie maksymalnym.

Dodatkowo we wszystkich wariantach odrębnie zaprezentowano wyniki analizy z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka oraz bez jego uwzględnienia. Szczegółowo do wyników analizy z uwzględnieniem pacjentów leczonych lekiem Nexavar w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Leczniczych odniesiono się w rozdziale 8 (str. 12).

## 7.1 Wariant podstawowy

### 7.1.1 Analiza z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka

W poniższej tabeli przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 3. Wyniki analizy wpływu na system ochrony zdrowia – wariant podstawowy, z uwzględnieniem RSS.

Schemat (strategia leczenia)	Scenariusz nowy [zł]	Scenariusz istniejący [zł]	Zmiana wydatków [zł]
<b>Rok 1</b>			
Sorafenib	████████	████████	████████
Wyłącznie BSC	█	████████	████████
Radioterapia paliatywna	█	████████	████████
<b>Razem</b>	████████	████████	████████
<b>Rok 2</b>			
Sorafenib	████████	████████	████████
Wyłącznie BSC	█	████████	████████
Radioterapia paliatywna	█	████████	████████
<b>Razem</b>	████████	████████	████████

Po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego, dodatkowe wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniosą kolejno ██████████ w pierwszym oraz ██████████ w drugim roku analizy.

### 7.1.2 Analiza bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka

W poniższej tabeli przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 4. Wyniki analizy wpływu na system ochrony zdrowia – wariant podstawowy, bez uwzględnienia RSS.

Schemat (strategia leczenia)	Scenariusz nowy [zł]	Scenariusz istniejący [zł]	Zmiana wydatków [zł]
<b>Rok 1</b>			
Sorafenib	10 553 110	1 827 197	8 725 913
Wyłącznie BSC	0	104 692	-104 692
Radioterapia paliatywna	0	311 085	-311 085
<b>Razem</b>	<b>10 553 110</b>	<b>2 242 974</b>	<b>8 310 136</b>
<b>Rok 2</b>			
Sorafenib	22 371 340	3 811 577	18 559 763
Wyłącznie BSC	0	291 023	-291 023
Radioterapia paliatywna	0	421 255	-421 255
<b>Razem</b>	<b>22 371 340</b>	<b>4 523 855</b>	<b>17 847 485</b>

Po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego, dodatkowe wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniosą kolejno **8,3 mln zł** w pierwszym oraz **17,8 mln zł** w drugim roku analizy.



## 7.2 Wariant minimalny

### 7.2.1 Analiza z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka

W poniższej tabeli przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 5. Wyniki analizy wpływu na system ochrony zdrowia – wariant minimalny, z uwzględnieniem RSS.

Schemat (strategia leczenia)	Scenariusz nowy [zł]	Scenariusz istniejący [zł]	Zmiana wydatków [zł]
<b>Rok 1</b>			
Sorafenib	████████	████████	████████
Wyłącznie BSC	█	████████	████████
Radioterapia paliatywna	█	████████	████████
<b>Razem</b>	████████	████████	████████
<b>Rok 2</b>			
Sorafenib	████████	████████	████████
Wyłącznie BSC	█	████████	████████
Radioterapia paliatywna	█	████████	████████
<b>Razem</b>	████████	████████	████████

Po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego, dodatkowe wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniosą kolejno ██████████ w pierwszym oraz ██████████ w drugim roku analizy.

## 7.2.2 Analiza bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka

W poniższej tabeli przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 6. Wyniki analizy wpływu na system ochrony zdrowia – wariant minimalny, bez uwzględnienia RSS.

Schemat (strategia leczenia)	Scenariusz nowy [zł]	Scenariusz istniejący [zł]	Zmiana wydatków [zł]
<b>Rok 1</b>			
Sorafenib	10 190 135	1 827 197	8 362 939
Wyłącznie BSC	0	100 338	-100 338
Radioterapia paliatywna	0	298 144	-298 144
<b>Razem</b>	<b>10 190 135</b>	<b>2 225 679</b>	<b>7 964 457</b>
<b>Rok 2</b>			
Sorafenib	21 251 387	3 810 594	17 440 794
Wyłącznie BSC	0	275 453	-275 453
Radioterapia paliatywna	0	391 712	-391 712
<b>Razem</b>	<b>21 251 387</b>	<b>4 477 759</b>	<b>16 773 629</b>

Po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego, dodatkowe wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniosą kolejno **8,0 mln zł** w pierwszym oraz **16,8 mln zł** w drugim roku analizy.

## 7.3 Wariant maksymalny

### 7.3.1 Analiza z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka

W poniższej tabeli przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 7. Wyniki analizy wpływu na system ochrony zdrowia – wariant maksymalny, z uwzględnieniem RSS.

Schemat (strategia leczenia)	Scenariusz nowy [zł]	Scenariusz istniejący [zł]	Zmiana wydatków [zł]
<b>Rok 1</b>			
Sorafenib	████████	████████	████████
Wyłącznie BSC	█	████████	████████
Radioterapia paliatywna	█	████████	████████
<b>Razem</b>	████████	████████	████████
<b>Rok 2</b>			
Sorafenib	████████	████████	████████
Wyłącznie BSC	█	████████	████████
Radioterapia paliatywna	█	████████	████████
<b>Razem</b>	████████	████████	████████

Po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego, dodatkowe wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniosą kolejno ██████████ w pierwszym oraz ██████████ w drugim roku analizy.

### 7.3.2 Analiza bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka

W poniższej tabeli przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 8. Wyniki analizy wpływu na system ochrony zdrowia – wariant maksymalny, bez uwzględnienia RSS.

Schemat (strategia leczenia)	Scenariusz nowy [zł]	Scenariusz istniejący [zł]	Zmiana wydatków [zł]
<b>Rok 1</b>			
Sorafenib	10 822 627	1 827 197	8 995 430
Wyłącznie BSC	0	107 926	-107 926
Radioterapia paliatywna	0	320 693	-320 693
<b>Razem</b>	<b>10 822 627</b>	<b>2 255 816</b>	<b>8 566 811</b>
<b>Rok 2</b>			
Sorafenib	23 202 930	3 812 265	19 390 665
Wyłącznie BSC	0	302 616	-302 616
Radioterapia paliatywna	0	443 208	-443 208
<b>Razem</b>	<b>23 202 930</b>	<b>4 558 089</b>	<b>18 644 841</b>

Po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego, dodatkowe wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniosą kolejno **8,6 mln zł** w pierwszym oraz **18,7 mln zł** w drugim roku analizy.

## 8 Podsumowanie wyników analizy

Uwzględnienie w scenariuszu aktualnym pacjentów przyjmujących obecnie sorafenib w ramach RDTL prowadzi do obniżenia wydatków inkrementalnych względem oryginalnej analizy, w której ze względu na wysoką niepewność oszacowania liczebności tej grupy pacjentów, zdecydowano się przyjąć skrajnie konserwatywne założenie i przyjąć, że lek Nexavar nie jest obecnie stosowany w populacji docelowej.

W oryginalnej analizie wydatki inkrementalne płatnika publicznego oszacowano na [REDACTED] w pierwszym oraz [REDACTED] w drugim roku horyzontu czasowego. Po uwzględnieniu w scenariuszu aktual-

Nexavar® (sorafenib)

w leczeniu postępującego, miejscowo zaawansowanego lub z przerzutami, zróżnicowanego raka tarczycy (brodawkowatego/pęcherzykowatego/oksyfilnego [z komórek Hürthle'a]), opornego na leczenie jodem radioaktywnym

nym obecności sorafenibu stosowanego w ramach RDTL wydatki te zmalały do odpowiednio [REDACTED] w pierwszym i [REDACTED] w drugim roku. Ten znaczący spadek wydatków inkrementalnych o [REDACTED] w pierwszym oraz [REDACTED] w drugim roku przybliżył wyniki analizy wpływu na budżet do stanu rzeczywistej praktyki, ale nadal jest to wariant konserwatywny. Uzyskana od Wnioskodawcy liczba pacjentów leczonych w ramach RDTL uwzględnia jedynie pacjentów leczonych w czterech ośrodkach przedstawionych w Tabeli 1 (str. 5), a dodatkowo w analizie nie uwzględniono potencjalnego wzrostu tej liczby w przyszłości wynikającej zarówno z obserwowanego wzrostu zachorowalności, jak i rozpowszechnienia się stosowania leku Nexavar w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Leczniczych.