



IGNORANTIA NOCET

Jinarc<sup>®</sup> (tolwaptan) stosowany w celu spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby

Analiza wpływu na budżet  
Wersja 1.1

Wykonawca:  
MAHTA Sp. z o.o.  
ul. Modra 90/111  
02-661 Warszawa  
Tel. biuro: +48 533 399 146  
E-mail: [biuro@mahta.pl](mailto:biuro@mahta.pl)

Przygotowano dla:  
Swixx Biopharma Sp. z o.o.

Warszawa, 11.12.2020 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 02-661  
ul. Modra 90/111

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

11 grudnia 2020 r. uzupełniono informacje w *Analizie wpływu na budżet* w związku z uwagami zawartymi w piśmie OT.4331.44.2020.TG.2 z dnia 20 listopada 2020 r. Pierwotnie analiza została zakończona 26 lutego 2020 r.

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Koncepcja analizy;</li> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Zdefiniowanie populacji;</li> <li>⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;</li> <li>⊗ Aspekty etyczne i społeczne</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Ocena kosztów;</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 Prusko i Michała Jachimowicza.

**Konflikt interesów:**

Raport wykonano na zlecenie firmy Swixx Biopharma Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

---

## Spis treści

<b>Indeks skrótów .....</b>	<b>5</b>
<b>Streszczenie .....</b>	<b>6</b>
<b>1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....</b>	<b>9</b>
<b>2. Analiza wpływu na budżet.....</b>	<b>9</b>
2.1. Metodyka analizy .....	9
2.2. Horyzont czasowy .....	10
2.3. Perspektywa .....	11
2.4. Scenariusze porównywane .....	11
2.5. Populacja .....	12
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana.....	12
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....	15
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....	16
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.....	16
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją.....	18
2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach.....	18

---

---

2.6. Analiza kosztów .....	19
2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej.....	20
2.6.2. Modelowanie kosztów .....	23
2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....	24
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....	27
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe .....	27
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe .....	27
<b>3. Analiza wrażliwości .....</b>	<b>29</b>
<b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....</b>	<b>31</b>
<b>5. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>	<b>31</b>
<b>6. Założenia i ograniczenia .....</b>	<b>33</b>
<b>7. Podsumowanie i wnioski końcowe .....</b>	<b>33</b>
<b>8. Załączniki .....</b>	<b>36</b>
8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej...36	
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....37	
8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej.....39	
<b>9. Spis tabel .....</b>	<b>41</b>
<b>10. Spis rysunków .....</b>	<b>43</b>
<b>11. Bibliografia.....</b>	<b>44</b>

---

## Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
ADPKD	ang. <i>autosomal dominant polycystic kidney disease</i> – autosomalnie dominująca postać zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
APD	analiza problemu decyzyjnego
BSC	ang. <i>best supportive care</i> – najlepsze leczenie wspomagające, terapia paliatywna
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
DDD	ang. <i>defined daily dose</i> – dobowy dawka leku
EAN	ang. <i>European Article Number</i> – Europejski Kod Towarowy
EMA	ang. <i>European Medicines Agency</i> – Europejska Agencja Leków, dawniej używanym skrótem jest EMEA
FDA	ang. <i>Food and Drug Administration</i> – Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HTA	ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych
i.v.	łac. <i>intravenous</i> – dożylnie
MZ	Minister Zdrowia
n/d	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NICE	ang. <i>National Institute for Health and Care Excellence</i> – Brytyjska Agencja Oceny Technologii Medycznych
p.o.	łac. <i>per os</i> – doustnie
PChN	przewlekła choroba nerek
PKD	ang. <i>polycystic kidney disease</i> – wielotorbielowate zwyrodnienie nerek
PL	program lekowy
PLN	polski złoty
s.c.	łac. <i>sub cutem</i> – podskórnice
TOL	tolwaptan
WHO	ang. <i>World Health Organization</i> – Światowa Organizacja Zdrowia

---

## Streszczenie

### CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Jinarc® (tolwaptan, TOL) stosowanego w celu spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby.

Dokument składa się z analizy wpływu na budżet, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienia aspektów etycznych i społecznych.

### METODYKA

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią dorośli chorzy na autosomalnie dominującą postać zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby. Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: publikacji Głównego Urzędu Statystycznego oraz badań epidemiologicznych i obserwacyjnych.

W analizie wpływu na budżet rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika.

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której tolwaptan nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym, w leczeniu chorych na autosomalnie dominującą postać zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby

---

stosowane jest najlepsze leczenie wspomagające. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której tolwaptan będzie finansowany ze środków publicznych. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

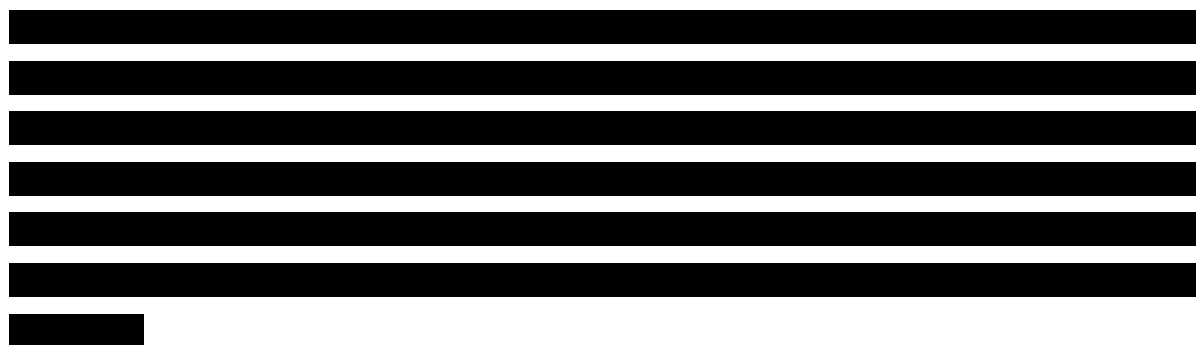
W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej.

Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono jedynie na podstawie kosztu wnioskowanego leku.

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy płatnika publicznego. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy, rozpoczynający się we wrześniu 2020 r. Okres od września 2020 do sierpnia 2021 roku w dalszej części opracowania określano jako 1. rok refundacji, okres od września 2021 do sierpnia 2022 roku w dalszej części opracowania określano jako 2 rok refundacji. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

## **WYNIKI**

### **Oszacowanie populacji**



### **Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego**

Po podjęciu pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych TOL nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego.

[REDACTED]

Wyniki przeprowadzonej jednokierunkowej analizy wrażliwości wskazują, że największy wpływ na wyniki analizy mają następujące scenariusze:

[REDACTED]

## **PODSUMOWANIE I WNIOSKI**

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu tolwaptanu (Jinarc®) do finansowania w ramach programu lekowego.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych na autosomalnie dominującą postać zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby stosowane jest najlepsze leczenie wspomagające. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować jedynie najlepsze leczenie wspomagające teraz będą mogli skorzystać również z terapii lekiem Jinarc®. [REDACTED]

[REDACTED]. W konsekwencji finansowanie leku Jinarc® zapewni chorym na autosomalnie dominującą postać zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby dostęp do terapii, którą można uznać za pierwszą skuteczną metodę leczenia chorych na ADPKD. Będzie się to jednak wiązało ze wzrostem wydatków po stronie płatnika publicznego.



---

Wzrost wydatków wynikać będzie z dodania leku Jinarc® do aktualnie stosowanej praktyki klinicznej leczenia ADPKD (którym jest najlepsze leczenie wspomagające).

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Jinarc® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla szerokiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

## 1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Jinarc® (tolwaptan, TOL) w leczeniu autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby. Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Jinarc® w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel 2016, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń.

## 2. Analiza wpływu na budżet

### 2.1. Metodyka analizy

1. Analizę wykonano w oparciu o *Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań, Wytyczne AOTMiT* oraz *Ustawę o refundacji*.
  2. Zdefiniowano populację zgodną z kryteriami kwalifikacji dla technologii wnioskowanej na podstawie danych pochodzących z publikacji Głównego Urzędu Statystycznego dotyczących liczebności populacji polskiej oraz publikacji przedstawiających wyniki badań epidemiologicznych i obserwacyjnych: *Wiley 2017, Neumann 2013, Torres 2012*, a także badania *NHANES III*.
-

3. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego, począwszy od września 2020 roku.
4. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
5. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej.
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
7. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
8. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera oznacza to dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji refundacyjnej.
9. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
10. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla oszacowania populacji docelowej oraz kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.

## **2.2. Horyzont czasowy**

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań oraz Wytycznymi AOTMiT* horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi na rynku (tj. osiągnięcia docelowej stabilnej wielkości sprzedaży bądź

---

liczby leczonych pacjentów) oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od września 2020 r. do sierpnia 2022 r. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, że wnioskowana technologia byłaby finansowana w ramach *Programu lekowego*, który w sposób precyzyjny określa standard terapeutyczny.

Dodatkowo, zgodnie z *Ustawą o refundacji*, pierwsza decyzja refundacyjna wydawana jest na 2 lata, co potwierdza zasadność przyjętego horyzontu czasowego analizy.

### 2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnym wymagań*, dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy wpływu na budżet, analiza została przeprowadzona w wariantach z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny<sup>1</sup>).

### 2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz scenariusz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której technologia wnioskowana zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* nie jest refundowana w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego.

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w programie lekowym i wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.1.).

---

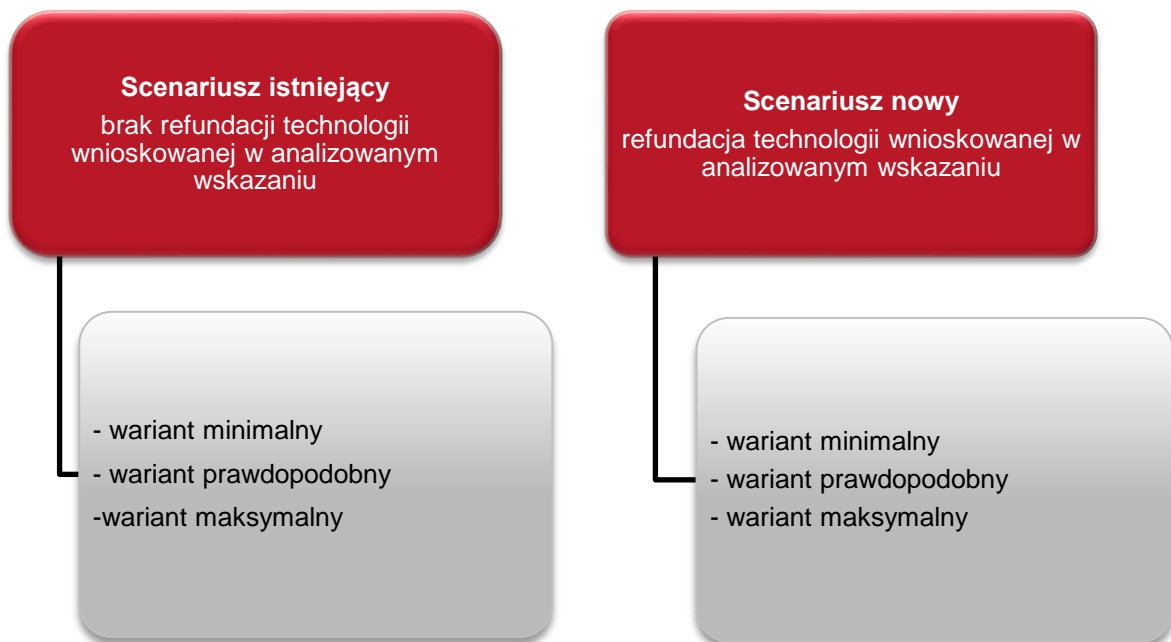
<sup>1</sup> Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

---

Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata, wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.

Analizowane scenariusze (istniejący, nowy) oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

**Rysunek 1.**  
**Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet**



## 2.5. Populacja

### 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o ChPL wnioskowanej technologii. Zgodnie z *ChPL Jinarc®*, tolwaptan jest wskazany do stosowania w celu spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie

dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek (ADPKD) u dorosłych chorych z przewlekłą chorobą nerek (PChN) w stadium od 1. do 4. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby.

Zgodnie z danymi opublikowanymi na stronach Głównego Urzędu Statystycznego populacja polska w 2018 r. liczyła 38 411 100 osób, z czego 82% stanowili dorośli. Autorzy publikacji *Wiley 2017* oszacowali, na podstawie przeglądu badań epidemiologicznych z lat 1980-2015 oraz danych rejestrowych, iż chorobowość ADPKD wynosi 3,96 na 10 000. Biorąc pod uwagę powyższe wartości można przyjąć, iż w Polsce żyje 12 473 osób z ADPKD. Ponadto zgodnie z danymi GUS w 2018 r. urodziło się 388 200 dzieci. [REDACTED]

Zgodnie z publikacją *Neumann 2013*, odsetek chorych niezdiagnozowanych z ADPKD wynosi 10%. W analizie wrażliwości testowano wartość równą 0% dla tego parametru.

Wyniki liczebności populacji ze zdiagnozowaną ADPKD w Polsce przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 1.**  
**Liczba chorych ze zdiagnozowaną ADPKD w Polsce**

Wskazanie	Liczebność populacji	Min - Max	Źródło
Liczba chorych na podstawie odsetka chorobowości	[REDACTED]	[REDACTED]	GUS, <i>Wiley 2017</i> , <i>Neumann 2013</i>
Szacunkowa wartość nowych przypadków zachorowania	[REDACTED]	[REDACTED]	
Łącznie	[REDACTED]	[REDACTED]	

W Raporcie w sprawie ustalenia taryfy świadczeń opublikowanym na stronie AOTMiT [*Raport AOTMiT*] przedstawiono częstości występowania przewlekłej choroby nerek (PChN) na podstawie amerykańskiego badania *NHANES III*. Dane te posłużyły AOTMiT do szacowania

populacji z PChN w Polsce. W poniższej tabeli zestawiono częstości dla stadium PChN od 1. do 4.

**Tabela 2.**  
**Częstość występowania PChN**

Stadium	Częstość występowania (w mln osób)	Częstość występowania (procentowo)	Źródło
1.	5,9	30,1%	<i>Raport AOTMiT [NHANES III]</i>
2.	5,3	27,5%	
3.	7,6	39,3%	
4.	0,4	1,8%	

W analizie wrażliwości testowano inne zestawy częstości wskazane w poniższej tabeli.

**Tabela 3.**  
**Częstość występowania PChN – analiza wrażliwości**

Stadium	Częstość występowania (procentowo)	Źródło	Częstość występowania (procentowo)	Źródło
1.	18,5%	<i>Neumann 2013</i>	13,1%	<i>Cornec 2013</i>
2.	21,5%		15,8%	
3.	18,3%		19,4%	
4.	6,8%		10,7%	

Na podstawie danych od Zamawiającego określono częstość występowania choroby szybko postępującej (*fast progressors*) w zależności od stadium PChN. Odpowiednie wartości przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 4.**  
**Częstość występowania choroby szybko progresującej**

Stadium	Częstość występowania (procentowo)	Źródło
1.	■	<i>Dane od Zamawiającego</i>
2.	■	
3.	■	
4.	■	

Liczebność populacji, w której technologia wnioskowana może zostać zastosowana oszacowano mnożąc liczebność populacji z ADPKD przez odsetki określające częstość występowania PChN oraz choroby szybko progresującej. W obliczeniach uwzględniono ponadto umieralność chorych. Średni wiek chorego włączanego do badania TEMPO 3:4 wynosi 39 lat, stąd zaimplementowano prawdopodobieństwo zgonu obliczone jako średnia dla 40- i 41-latków (na podstawie tablic trwania życia publikowanych przez GUS) – równe 0,18%.

W tabeli poniżej przedstawiono zestawienie oszacowania liczebności populacji badanej dla wnioskowanej technologii medycznej.

**Tabela 5.**  
**Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana**

Wskazanie	Liczebność populacji	Źródło
ADPKD z PChN w stadium od 1. do 4., z chorobą szybko progresującą	██████████	GUS, Wiley 2017, Neumann 2013, NHANES III, Dane od Zamawiającego

### Podsumowanie

Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia może być stosowana w Polsce, wynosi ok. ██████████

### 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Populacja docelowa rozpatrywana w ramach niniejszej analizy obejmuje dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby. Populacja ta zawiera się zatem w zarejestrowanym wskazaniu dla leku Jinarc®.

Estymację liczebności populacji docelowej wykonano w analogiczny sposób jak w przypadku populacji, w której technologia wnioskowana może być zastosowana. Przyjęto jedynie odsetki dla stadium 2. i 3. W przypadku częstości występowania PChN oraz choroby szybko progresującej.

Estymowaną liczebność populacji docelowej przedstawiono w tabeli poniżej.





### 2.5.4.2. Oszacowanie wielkości populacji chorych leczonych technologią wnioskowaną

Uwzględniając udziały w rynku (rozdział 2.5.4.1.) oraz wielkość populacji docelowej (rozdział 2.5.2.) oszacowano liczbę chorych leczonych technologią wnioskowaną.

**Tabela 8.**  
**Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana**

Wariant oszacowania	1. rok	2. rok
Minimalny	■	■
Prawdopodobny	■	■
Maksymalny	■	■

**Tabela 9.**  
**Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w całym rocznym cyklu leczenia**

Wariant oszacowania	1. rok	2. rok
Minimalny	■	■
Prawdopodobny	■	■
Maksymalny	■	■

Wielkość dostaw (Jinarc®), konieczną do zastosowania terapii w oszacowanej populacji chorych, przedstawiono w załączniku (rozdział 8.3.).

### 2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji tolwaptanu, lek ten nie będzie stosowany.

### 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach

W tabeli poniżej przedstawiono wartości oszacowań populacyjnych wykonanych w niniejszej analizie wpływu na system ochrony zdrowia (opisanych w rozdziałach 2.5.1. – 2.5.5.).

**Tabela 10.**

**Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań**

Populacja	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	Podstawa prawna
Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	██████████	art. 1 ust. 1pkt 1 lit. a
Populacja docelowa, wskazana we wniosku	████████████████████ ████████████████████ ████████████████████	art. 1 ust. 1pkt 1 lit. b
Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	0	art. 1 ust. 1pkt 1 lit. c
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	████████████████████ ████████████████████ ████████████████████	art. 1 ust. 1pkt 2
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	0	art. 1 ust. 1pkt 4

## 2.6. Analiza kosztów

Kategorie kosztów zaczerpnięto z *Analizy ekonomicznej*. Wpływ na wynik końcowy, a więc na wartość wydatków inkrementalnych płatnika publicznego, mają całkowite koszty różniące. Całkowite koszty różniące zdefiniowano jako koszty występujące w ramach jednego ze scenariuszy, a więc różniące oceniane technologie medyczne.

W analizie z perspektywy płatnika publicznego uwzględniono i oceniano jedynie koszt technologii wnioskowanej. Podejście to można uznać za konserwatywne. Dodatkowo w analizie wrażliwości uwzględniono koszt monitorowania w trakcie stosowania technologii wnioskowanej.

Pozostałe kategorie kosztów bezpośrednich uznano za nieróżniące, zaliczając je do kategorii kosztów wspólnych. Koszty te (jako koszty wspólne dla technologii wnioskowanej i komparatora) nie mają wpływu na wyniki analizy. Nie były zatem ostatecznie brane pod uwagę w obliczeniach. W poniższej tabeli wyszczególniono poszczególne koszty nieróżniące oraz przedstawiono zasadność kwalifikacji do kategorii kosztów nieróżniących.

**Tabela 11.**  
**Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne**

Kategoria kosztowa	Uzasadnienie kwalifikacji
Koszt podania leku	Dotyczy wszystkich chorych leczonych technologią ocenianą i komparatorem w tej samej wysokości.
Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych	W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania terapii w <i>Analizie klinicznej</i> nie wykazano różnic pomiędzy technologią ocenianą i komparatorem.
Koszty związane z wizytami w poradni nefrologicznej	Koszty nie wpływają na oszacowanie wydatków inkrementalnych w krótkim horyzoncie analizy (2-letnim) w sposób znaczący
Koszty zależne od stanu zdrowia	

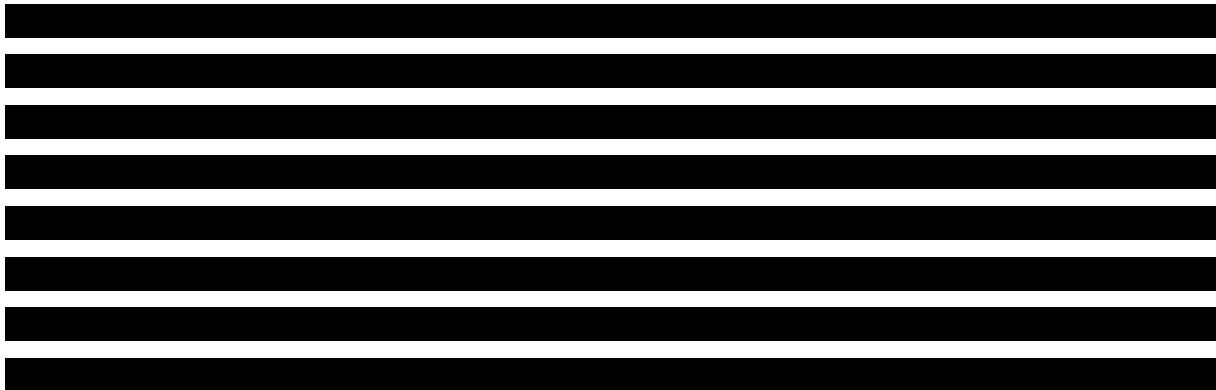
Ponieważ poszczególne kategorie kosztowe nie zostały uwzględnione w analizie wpływu na system ochrony zdrowia (bądź zostały uwzględnione jedynie w analizie wrażliwości) zaprezentowano jedynie koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej.

## 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej

Do obliczenia kosztu stosowania wnioskowanej technologii medycznej konieczne było określenie zużycia zasobów (dawkowania) oraz cen jednostkowych poszczególnych prezentacji leków.

### 2.6.1.1. Dawkowanie

Do obliczenia kosztu stosowania badanej technologii medycznej konieczne było określenie zużycia zasobów (dawkowania) oraz ceny jednostkowej leku. Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Jinarc®* określono, że w celu spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. W momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby, tolwaptan należy podawać dwa razy na dobę w schemacie dawek podzielonych 45 mg + 15 mg, 60 mg + 30 mg lub 90 mg + 30 mg. Dawka początkowa wynosi 60 mg tolwaptanu na dobę stosowanego w schemacie dawek podzielonych 45 mg + 15 mg (45 mg po przebudzeniu i przed śniadaniem oraz 15 mg 8 godzin później). Tę dawkę początkową należy zwiększyć do 90 mg tolwaptanu (w schemacie dawek podzielonych 60 mg + 30 mg) na dobę, a następnie do docelowej dawki 120 mg tolwaptanu na dobę w schemacie podzielonym (90 mg + 30 mg), jeśli jest tolerowana, z zachowaniem co najmniej tygodniowych 3 odstępów między kolejnymi zwiększeniami dawki. Dawkę należy zwiększać ostrożnie, aby nie dopuścić do złej tolerancji dużych dawek na skutek zbyt szybkiego zwiększania dawki leku. W zależności od indywidualnej tolerancji pacjenta dawkę można zmniejszyć. Pacjent powinien stosować tolwaptan w największej tolerowanej przez siebie dawce.





Dane te zostały przedstawione w poniższej tabeli.

**Tabela 12.**  
**Dawkowanie leku (PLN)**

Prezentacja	Odsetek chorych stosujących poszczególne prezentacje leku		
	1 miesiąc	2 miesiąc	3+ miesiąc
Jinarc® 45 mg + 15 mg	■	■	■
Jinarc® 60 mg + 30 mg	■	■	■
Jinarc® 90 mg + 30 mg	■	■	■

### 2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji

Obecnie lek nie jest finansowany w analizowanym wskazaniu. W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1.

Cenę zbytu netto tolwaptanu otrzymano od Zamawiającego [*Dane dostarczone przez Zamawiającego*], wynosi ona:

- ⊗ ■ PLN za opakowanie tabletek o dawce 45 mg + 15 mg;
- ⊗ ■ PLN za opakowanie tabletek o dawce 60 mg + 30 mg;
- ⊗ ■ PLN za opakowanie tabletek o dawce 90 mg + 30 mg.

Zgodnie z zapisami *Ustawy o refundacji* wyznaczono urzędową cenę zbytu oraz cenę hurtową brutto.

Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela (Tabela 13.).

## ZESTAWIENIE TABELARYCZNE

**Tabela 13.**  
**Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN)**

Substancja	Prezentacja	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Limit finansowania
Tolwaptan	Jinarc® 45 mg + 15 mg	■	■	■	■
	Jinarc® 60 mg + 30 mg	■	■	■	■
	Jinarc® 90 mg + 30 mg	■	■	■	■

Następnie uwzględniając liczbę mg tolwaptanu w każdej z prezentacji leku oraz odsetek chorych stosujących każdą z nich oszacowano jaki udział w łącznym zużyciu tolwaptanu w kolejnych miesiącach mają poszczególne prezentacje leku. Uwzględniając dodatkowo koszt opakowania leku, oszacowano średni koszt leczenia w pierwszym miesiącu, drugim miesiącu oraz kolejnych miesiącach.

**Tabela 14.**  
**Średni koszt leku w poszczególnych miesiącach (PLN)**

Prezentacja	Udział poszczególnych prezentacji w łącznym zużyciu mg			Cena hurtowa brutto
	1 miesiąc	2 miesiąc	3+ miesiąc	
Jinarc® 45 mg + 15 mg	■	■	■	■
Jinarc® 60 mg + 30 mg	■	■	■	■
Jinarc® 90 mg + 30 mg	■	■	■	■
Koszt ważony udziałami poszczególnych prezentacji	■	■	■	■

### 2.6.1.3. Zestawienie kosztu leku

W oparciu o dawkowanie oraz ceny leków wyznaczono koszt jednostkowy leków w przeliczeniu na w cykl leczenia (1. rok). Wartości wskazano w poniższej tabeli. Ze względu na stopniowe dostosowywanie dawki, średni roczny koszt leku jest inny w pierwszym roku oraz w kolejnych latach.

**Tabela 15.**  
**Średni roczny koszt leku (PLN)**

Prezentacja	1. rok	Kolejne lata (2+)
Średni roczny koszt leku	■	■



---

## **2.7. Podsumowanie danych wejściowych**

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.



**Tabela 17.**  
**Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet**

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)	Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
<b>Parametry analizy wpływu na budżet</b>				
Horyzont czasowy analizy	2 lata	n/d	n/d	Rozdział 2.2
Liczebność populacji docelowej	Rozdział 2.5.2.,	Rozdział 2.5.2.	Rozdział 2.5.2.	GUS, Wiley 2017, Neumann 2013, NHANES III, Dane od Zamawiającego
Udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych	Rozdział 2.5.4.1.	Rozdział 2.5.4.1.	Rozdział 2.5.4.1.	Dane od Zamawiającego
Częstość występowania PChN	Rozdział 2.5.1.	Rozdział 2.5.1.	Rozdział 2.5.1.	NHANES III, Neumann 2013, Cornec 2013
Odsetek chorych niezdiagnozowanych z ADPKD	Rozdział 2.5.1.	Rozdział 2.5.1.	Rozdział 2.5.1.	Neumann 2013
<b>Parametry kosztowe</b>				
Cena zbytu netto Jinarc® 45 mg + 15 mg (PLN)	██████	n/d	n/d	Dane dostarczone przez Zamawiającego
Cena zbytu netto Jinarc® 60 mg + 30 mg (PLN)	██████	n/d	n/d	
Cena zbytu netto Jinarc® 90 mg + 30 mg (PLN)	██████	n/d	n/d	

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)	Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
Koszt roczny leczenia TOL	[REDACTED]	[REDACTED]	Rozdział 2.6.1.3.	[REDACTED]

---

## **2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy**

Na podstawie oszacowania wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków oraz całkowite koszty różniące leczenie jednego chorego w ciągu roku, wyznaczono roczne wydatki budżetowe w perspektywie płatnika publicznego. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu.

### **2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe**

Obecnie tolwaptan nie jest stosowany w analizowanej populacji chorych 





### **2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe**

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego. Dodatkowo wyniki przedstawiono w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

---

**Tabela 18.**  
**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego**

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
<b>Całkowite koszty różniące*</b>						
minimalny	■	■	■	■	■	■
prawdopodobny	■	■	■	■	■	■
maksymalny	■	■	■	■	■	■
<b>Koszt TOL (Jinarc®)</b>						
minimalny	0,00	0,00	■	■	■	■
prawdopodobny	0,00	0,00	■	■	■	■
maksymalny	0,00	0,00	■	■	■	■

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono również graficznie na poniższym wykresie.

**Rysunek 2.**



### 3. Analiza wrażliwości

Analizę wrażliwości przeprowadzono dla parametrów, które w największym stopniu obarczone są niepewnością i mają potencjalnie największy wpływ na wyniki. Uwzględniono m.in. alternatywne założenia dla liczebności populacji i ustalenia się równowagi rynkowej.

Testowane parametry i ich zakres oraz scenariusze alternatywne przedstawiono w Rozdziale 2.7.

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższej tabeli.

The table content is redacted with a solid black rectangle, preventing the viewing of the sensitivity analysis results.

**Tabela 19.**  
**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego**

[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]

---

## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Jinarc® (tolwaptan) w leczeniu dorosłych chorych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby, w ramach *programu lekowego*, nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

W związku z powyższym, w wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

## 5. Aspekty etyczne i społeczne

Wnioskowana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba społeczna na wprowadzenie skutecznej terapii. Dotychczas stosowane leczenie przy pomocy leczenia zachowawczego nie może zostać uznane za satysfakcjonujące. Leczenie to pozwala jedynie na złagodzenie objawów choroby. Refundacja substancji umożliwi dostęp chorym do leczenia, które w sposób istotny klinicznie wpływa na spowolnienie wzrostu całkowitej objętości nerek (odzwierciedlającej rozwój torbieli) i postępu upośledzenia czynności nerek u chorych z przewlekłą chorobą nerek w stadium od 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*.

Progresywny charakter analizowanej jednostki chorobowej prowadzi do upośledzenia czynności nerek. W efekcie społeczeństwo obciążone jest istotnymi kosztami utraty produktywności. Koszty te są, tym wyższe im mniej skutecznie prowadzona jest terapia tych chorych. Obecnie chorzy nie mają zagwarantowanego dostępu do skutecznej metody leczenia przez co koszty społeczne są eskalowane. Refundacja tolwaptanu pomoże ograniczyć te koszty i będzie stanowiła odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę społeczną.

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Jinarc® w ramach programu lekowego, dotyczy wyłącznie chorych kwalifikujących się do programu lekowego, a zatem pacjentów

---

spełniających wszystkie kryteria włączenia, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

Na podstawie *Analizy klinicznej* stwierdzić można, że wnioskowana technologia spowalnia progresję upośledzenia czynności nerek, generuje więc istotne klinicznie dodatkowe efekty zdrowotne, w porównaniu do obecnie stosowanego w praktyce klinicznej leczenia zachowawczego. W zakresie profilu bezpieczeństwa stwierdzono, iż stosunek korzyści do ryzyka dla leku Jinarc® można uznać za pozytywny.

Pozytywna decyzja dotycząca finansowania technologii wnioskowanej, nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia.

Poniższa tabela przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

**Tabela 20.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	Żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych
Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia.	Nie
<b>Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:</b>	
wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
wywoływać ponadprzeciętny lęk;	Nie
powodować dylematy moralne;	Nie
stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.	Nie
<b>Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:</b>	
nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie



Warunek	Wartość
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
<b>Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:</b>	
konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
potrzeba zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych;	Nie
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

## 6. Założenia i ograniczenia

Zdefiniowano populację zgodną z kryteriami kwalifikacji dla technologii wnioskowanej na podstawie danych pochodzących z publikacji Głównego Urzędu Statystycznego dotyczących liczebności populacji polskiej oraz publikacji przedstawiających wyniki badań epidemiologicznych i obserwacyjnych: *Wiley 2017, Neumann 2013, Torres 2012*, a także badania *NHANES III*. Dane zawarte w publikacjach zagranicznych wykorzystano do szacowania populacji w Polsce.

Udziały w rynku technologii wnioskowanej i komparatorów w poszczególnych scenariuszach analizy określono na podstawie danych otrzymanych od Zamawiającego.

W analizie przyjęto, iż jedynym kosztem różniącym jest koszt leku Jinarc®. Wpływ kosztu monitorowania w trakcie leczenia z wykorzystaniem leku Jinarc® przetestowano w analizie wrażliwości

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach odrębnej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1.

Dodatkowo przyjęto, że przeciętny rok trwa dokładnie 365 dni.

## 7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu leku Jinarc® (tolwaptan) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności lek stosowany w programie lekowym.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją dorośli chorzy z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby.

Wpływ na system ochrony zdrowia określono w odniesieniu do następujących obszarów:

- ⊗ populacyjnych (oszacowanie potencjału rynkowego leku oraz prognoza liczebności populacji, która prawdopodobnie skorzysta z leku w sytuacji jego sfinansowania);
- ⊗ finansowych (analiza wpływu na budżet);
- ⊗ organizacji udzielania świadczeń;
- ⊗ etycznych i społecznych;

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: publikacji Głównego Urzędu Statystycznego oraz publikacji epidemiologicznych i obserwacyjnych.

Konstrukcja analizy wpływu na budżet objęła zestawienie ze sobą dwóch scenariuszy, w którym pierwszy zakłada brak refundacji, a drugi wprowadzenie do refundacji technologii wnioskowanej. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego. Analizę wykonano dla okresu 2 lat, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową. Uwzględniono jedynie koszt leku Jinarc®.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej. Cenę zbytu netto substancji otrzymano od Zamawiającego.

Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz aspekty etyczne i społeczne zostały określone zgodnie z metodyką zaproponowaną w *Wytycznych AOTMiT*.



---

Bezpośrednią konsekwencją decyzji refundacyjnej będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować leczenie zachowawcze teraz będą mogli skorzystać również z terapii lekiem Jinarc®. [REDACTED]

[REDACTED] W konsekwencji finansowanie leku Jinarc® zapewni chorym z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby dostęp do terapii, którą można uznać za pierwszą skuteczną metodę leczenia chorych na ADPKD.

Refundacja technologii wnioskowanej spowoduje zwiększenie wydatków z perspektywy płatnika publicznego. [REDACTED]

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Jinarc® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla szerokiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

---

---

## 8. Załączniki

### 8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej

W przypadku leku Jinarc® nie są spełnione wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 Ustawy o refundacji. Nie ma to jednak żadnego wpływu na decyzję w zakresie kwalifikacji do wspólnej albo odrębnej grupy limitowej. Zapis punktu 1 („... w przypadku, gdy droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny”) dotyczy tylko sytuacji, w której lek zawierający daną substancję czynną jest już refundowany (ale jest to lek o innej drodze podania lub innej postaci farmaceutycznej niż lek wnioskowany).

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, że leku Jinarc® nie można zakwalifikować do żadnej z obecnie istniejących grup limitowych. Lek ten nie spełnia kryteriów kwalifikacji do wspólnych grup limitowych, o których mowa w art. 15 ust 2 *Ustawy o refundacji* ze względu na brak: tej samej nazwy międzynarodowej, brak tych samych mechanizmów działania i podobnych działań terapeutycznych, zgodności wskazań i przeznaczeń, tej samej skuteczności w porównaniu do jakiegokolwiek innego obecnie refundowanego preparatu.

Objęcie refundacją tolwaptanu może nastąpić tylko w drodze utworzenie nowej grupy limitowej. Nie jest możliwe włączenie leku Jinarc® do jednej z już istniejących grup limitowych gdyż nie ma grupy limitowej dla preparatów, które miałyby te same wskazania i przeznaczenia oraz sposób działania i udowodnioną skuteczność, więc nie będzie spełniony warunek z art. 15 ust. 2 pkt 1 *Ustawy o refundacji*.

---

## 8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań

**Tabela 21.**

**Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań**

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
1.	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	n/d
1.1.	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK, rozdział 2.5.1.
1.2.	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK, rozdział 2.5.2.
1.3.	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK, rozdział 2.5.3.
1.4.	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.5.4.
2.	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
2.1.	Aktualnych	TAK, rozdział 2.8.1.
2.2.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje	TAK, rozdział 2.8.1.
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.2.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.2.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.2.
8.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7.
9.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 6.
9.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 6.
10.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
12.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji
13.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach <ul style="list-style-type: none"> <li>z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka),</li> <li>bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka</li> </ul>	NIE
13.1.	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> <li>w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</li> <li>w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</li> </ul>	TAK, rozdział 8.1.

### 8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

**Tabela 22.**  
Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) – Jinarc® 45 mg + 15 mg

Miesiąc	1. rok refundacji			2. rok refundacji		
	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.
1.	■	■	■	■	■	■
2.	■	■	■	■	■	■
3.	■	■	■	■	■	■
4.	■	■	■	■	■	■
5.	■	■	■	■	■	■
6.	■	■	■	■	■	■
7.	■	■	■	■	■	■
8.	■	■	■	■	■	■
9.	■	■	■	■	■	■
10.	■	■	■	■	■	■
11.	■	■	■	■	■	■
12.	■	■	■	■	■	■
SUMA	■	■	■	■	■	■

**Tabela 23.**  
Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) – Jinarc® 60 mg + 30 mg

Miesiąc	1. rok refundacji			2. rok refundacji		
	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.
1.	■	■	■	■	■	■
2.	■	■	■	■	■	■
3.	■	■	■	■	■	■
4.	■	■	■	■	■	■
5.	■	■	■	■	■	■
6.	■	■	■	■	■	■
7.	■	■	■	■	■	■

Miesiąc	1. rok refundacji			2. rok refundacji		
	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.
8.	■	■	■	■	■	■
9.	■	■	■	■	■	■
10.	■	■	■	■	■	■
11.	■	■	■	■	■	■
12.	■	■	■	■	■	■
SUMA	■	■	■	■	■	■

**Tabela 24.**

**Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) – Jinarc® 90 mg + 30 mg**

Miesiąc	1. rok refundacji			2. rok refundacji		
	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.
1.	■	■	■	■	■	■
2.	■	■	■	■	■	■
3.	■	■	■	■	■	■
4.	■	■	■	■	■	■
5.	■	■	■	■	■	■
6.	■	■	■	■	■	■
7.	■	■	■	■	■	■
8.	■	■	■	■	■	■
9.	■	■	■	■	■	■
10.	■	■	■	■	■	■
11.	■	■	■	■	■	■
12.	■	■	■	■	■	■
SUMA	■	■	■	■	■	■



---

## 9. Spis tabel

Tabela 1. Liczba chorych ze zdiagnozowaną ADPKD w Polsce .....	13
Tabela 2. Częstość występowania PChN .....	14
Tabela 3. Częstość występowania PChN – analiza wrażliwości .....	14
Tabela 4. Częstość występowania choroby szybko progresującej.....	14
Tabela 5. Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....	15
Tabela 6. Populacja docelowa, wskazana we wniosku.....	16
Tabela 7. Udziały w rynku .....	16
Tabela 8. Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana .....	17
Tabela 9. Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w całym rocznym cyklu leczenia .....	17
Tabela 10. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	18
Tabela 11. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne .....	19
Tabela 12. Dawkowanie leku (PLN).....	21
Tabela 13. Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN).....	22
Tabela 14. Średni koszt leku w poszczególnych miesiącach (PLN).....	22
Tabela 15. Średni roczny koszt leku (PLN).....	22
Tabela 16. Średni roczny koszt leku (PLN) – analiza wrażliwości.....	23

---

---

Tabela 17. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....	25
Tabela 18. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego.....	28
Tabela 19. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego .....	30
Tabela 20. Aspekty społeczne i etyczne .....	32
Tabela 21. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	37
Tabela 22. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) – Jinarc® 45 mg + 15 mg .....	39
Tabela 23. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) – Jinarc® 60 mg + 30 mg .....	39
Tabela 24. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) – Jinarc® 90 mg + 30 mg .....	40

---

---

## 10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet .....12

Rysunek 2.   
 .....29

## 11. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
AE 2020	Analiza ekonomiczna, Jinarc® (tolwaptan) stosowany w celu spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby, MAHTA, Warszawa 2020 r.
AKL 2020	Analiza kliniczna, Jinarc® (tolwaptan) stosowany w celu spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby, MAHTA, Warszawa 2020 r.
APD 2020	Analiza problemu decyzyjnego, Jinarc® (tolwaptan) stosowany w celu spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby, MAHTA, Warszawa 2020 r.
ChPL Jinarc®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Jinarc®, <a href="https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/jinarc-epar-product-information_pl.pdf">https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/jinarc-epar-product-information_pl.pdf</a> (data dostępu: 21.10.2019 r.)
Cornec 2013	Cornec-Le Gall E, Treguer L, Sawadogo T, Benarbia S, Le Meur Y. Clinical factors predicting renal outcome in autosomal dominant polycystic kidney disease (ADPKD): results of the GENKYST registry. <i>Nephrol Dial Transplant</i> . 2013;28(Suppl 1):i81–4
Dane dostarczone przez Zamawiającego	Dane otrzymane przez Zamawiającego w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej, udziałów technologii wnioskowanej w rynku oraz częstości występowania choroby szybko progresującej
NHANES III	Dane z badania NHANES III pojawiły się jako źródło danych w Raporcie AOTMiT: Świadczenia gwarantowane obejmujące pobranie nerki od dawcy żywego finansowane w ramach produktu rozliczeniowego NFZ z katalogu świadczeń odrębnych w leczeniu szpitalnym. Raport w sprawie ustalenia taryfy świadczeń Nr: WT.541.13.2016
Neumann 2013	Neumann H., Jilg C., Bacher J. i in., Epidemiology of autosomal-dominant polycystic kidney disease: an in-depth study for south-western Germany, <i>Nephrol Dial Transplant</i> (2013) 28: 1472–1487
Raport AOTMiT	Świadczenia gwarantowane obejmujące pobranie nerki od dawcy żywego finansowane w ramach produktu rozliczeniowego NFZ z katalogu świadczeń odrębnych w leczeniu szpitalnym. Raport w sprawie ustalenia taryfy świadczeń Nr: WT.541.13.2016
Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań	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

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Rozporządzenie MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych
Torres 2012	Torres V., Chapman A., Devuyst O., Tolvaptan in patients with Autosomal Dominant Polycystic kidney disease, <i>New England journal of medicine</i> 2012, 367, 25, 2407-2418
Ustawa o refundacji	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
Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz. U. Nr. 210, poz. 2135
Willey 2017	Willey C., Blais J., Hall A. i in., Prevalence of autosomal dominant polycystic kidney disease in the European Union, <i>Nephrol Dial Transplant</i> (2017) 32: 1356–1363
Wytoczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytoczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016