



IGNORANTIA NOCET

Ultomiris® (rawulizumab) w leczeniu dorosłych chorych na napadową nocną hemoglobinurię

Analiza racjonalizacyjna
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

Przygotowano dla:
Alexion SAS Europe

Warszawa, 04.03.2021 r.

Osoby do kontaktu:

Cezary Pruszko

tel.: +48 602 10 44 55
cezary.pruszko@mahta.pl

Michał Jachimowicz

tel.: +48 608 555 595
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

W dniu 04.03.2021 r. analiza ekonomiczna została zmieniona w związku z uwagami zawartymi w piśmie OT.4231.1.2021.MKS.13

Autorzy	Wykonywane zadania
Grzegorz Binowski (adres do korespondencji: grzegorz.binowski@mahta.pl)	⊗ Opracowanie koncepcji analizy; ⊗ Kontrola jakości;
Monika Kręcisz	⊗ Opracowanie wyników; ⊗ Wnioski końcowe

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 Alexion SAS Europe, która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	4
1. Cel analizy racjonalizacyjnej	5
2. Metodyka.....	6
3. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego	7
4. Wyniki analizy racjonalizacyjnej.....	11
5. Podsumowanie i wnioski	12
6. Spis tabel	13
7. Bibliografia	14

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PLN	polski złoty
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 rawulizumabu (Ultomiris®) w leczeniu dorosłych chorych na napadową nocną hemoglobinurię do wykazu leków dostępnych w programie lekowym.

Wyniki *Analizy wpływu na system ochrony zdrowia* wskazują na wzrost wydatków w perspektywie płatnika publicznego w przypadku objęcia refundacją technologii wnioskowanej (rozdział 4).

2. Metodyka

Zgodnie z art. 25 pkt 14 lit. c *Ustawy o refundacji* oraz *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań* analiza racjonalizacyjna przedstawiać powinna rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje oszczędności w środkach publicznych. W związku z tym, analiza skupia się tylko na wynikach w perspektywie płatnika publicznego.

W analizie rozważono horyzont czasowy pokrywający się z horyzontem *Analizy wpływu na system ochrony zdrowia*, tj. obejmujący okres od września 2021 do końca sierpnia 2023 roku.

W poszukiwaniu możliwych źródeł oszczędności dla budżetu płatnika publicznego, które pozwoliłyby na pokrycie dodatkowych kosztów związanych z objęciem refundacją wnioskowanego produktu leczniczego w omawianym wskazaniu, zdecydowano się na przyjęcie następującego scenariusza dotyczącego objęcia refundacją leków zgodnie z art. 25 pkt 14 lit. c *Ustawy o refundacji* (przedłużenie decyzji refundacyjnej): możliwość obniżenia ceny urzędowej każdego leku widniejącego na liście leków refundowanych w ramach programów lekowych i w ramach wykazu leków stosowanych w chemioterapii (wskazanych w *Wykazie leków refundowanych*) przy obejmowaniu refundacją, podczas wydawania nowej decyzji administracyjnej dotyczącej analizowanych grup leków.

Proponowane rozwiązanie polega na obniżeniu ceny urzędowej każdego leku¹, przy obejmowaniu refundacją tych leków, w drodze wydawania kolejnej decyzji refundacyjnej. Kolejna decyzja refundacyjna dla danego leku wiązałaby się z obniżeniem ceny urzędowej o 1,0% w stosunku do ceny obowiązującej w obecnej decyzji refundacyjnej. Obniżka urzędowej ceny zbytu może się odbyć w dowolny sposób, między innymi: drogą negocjacji cenowych, zamieszczenia odpowiednich zapisów w *Ustawie o refundacji*, wydaniu odpowiedniego obwieszczenia lub rozporządzenia przez Ministra Zdrowia.

¹ Widniejącego na liście leków refundowanych w ramach programów lekowych i w ramach wykazu leków stosowanych w chemioterapii.

3. Analiza rozwiązań wskazujących oszczędności dla płatnika publicznego

W analizie rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący i nowy. W scenariuszu istniejącym założono, że dla każdego leku widniejącego na liście leków refundowanych w ramach programów lekowych i w ramach wykazu leków stosowanych w chemioterapii (wskazanych w *Wykazie leków refundowanych*), zostanie przedłużona decyzja refundacyjna bez zmiany cen leków. Przedstawiono również scenariusz nowy, który odnosi się do zmian w systemie refundacyjnym, przyczyniający się do zmniejszenia wydatków płatnika publicznego. Wynikiem analizy racjonalizacyjnej jest różnica pomiędzy scenariuszem nowym i istniejącym.

Scenariusz nowy przedstawiony w niniejszej analizie racjonalizacyjnej opiera się na rozwiązaniu zakładającym, że wysokość limitu finansowania każdego leku widniejącego na liście leków refundowanych w ramach programów lekowych i w ramach wykazu leków stosowanych w chemioterapii (wskazanych w *Wykazie leków refundowanych*) będzie jednorazowo obniżana o 1,0% przy obejmowaniu refundacją, podczas wydawania nowej decyzji administracyjnej dotyczącej analizowanych grup lekowych. Wiąże się to tym samym z obniżeniem ceny urzędowej każdego leku o około 1,0% na dwa lata² (i utrzymania tej ceny w kolejnych decyzjach refundacyjnych) z uwagi na fakt, że okres obowiązywania decyzji refundacyjnej dla wszystkich leków wchodzących w skład listy leków refundowanych w ramach programów lekowych i katalogu chemioterapeutyków wynosi właśnie dwa lata (z wyjątkami – w *Wykazie leków refundowanych* dla kilku leków przypisano inny okres obowiązywania decyzji)³.

Do głównych parametrów zawartych w kalkulacjach należą:

- ⊕ koszty leków (w analizowanym przypadku wysokość limitu finansowania);
- ⊕ wielkość refundacji (w sztukach zrefundowanych opakowań danego leku)⁴.

Na podstawie wysokości limitów finansowania dla leków i przy założeniu wskazanej obniżki tej wielkości przy obejmowaniu refundacją, podczas wydawania nowej decyzji refundacyjnej, obliczono kolejno nowe wysokości limitów finansowania dla każdego leku oraz oszczędności

² Jeżeli decyzja refundacyjna będzie wydana na inny okres (3 bądź 5 lat) wówczas obniżona cena będzie obowiązywała w tym okresie oraz przy kolejnych decyzjach refundacyjnych.

³ Jeżeli decyzja refundacyjna będzie obowiązywała na inny okres (3 bądź 5 lat) wówczas obniżenie ceny danego leku nastąpi po tym okresie.

⁴ Szczegóły dostępne są w kalkulatorze wykonanym w programie Excel, stanowiącym element niniejszej analizy.

generowane na jednym zrefundowanym opakowaniu danego leku (wszystkie obliczenia znajdują się w dołączonym do analizy dokumencie elektronicznym). Uwzględniając dane refundacyjne z okresu styczeń 2019 – marzec 2019, obliczono teoretyczne wielkości refundacji w horyzoncie analizy (wynoszącym 2 lata). Tym samym dla leków, którym obowiązywanie decyzji refundacyjnej kończy się wraz z dniem 1 września 2021 r., oszczędności dla płatnika publicznego generowane będą przez cały okres obowiązywania nowej i kolejnych decyzji refundacyjnych (wynoszący 2 lata). W poniższej tabeli przedstawiono część horyzontu czasowego, w którym generowane są oszczędności dla Narodowego Funduszu Zdrowia w zależności od daty wydania obowiązującej decyzji refundacyjnej.

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

Data wejścia w życie decyzji	Data wygaśnięcia decyzji*	Część horyzontu**
01.09.2019	01.09.2021	1,00
01.11.2019	01.11.2021	0,92
01.01.2020	01.01.2022	0,83
01.03.2020	01.03.2022	0,75
01.05.2020	01.05.2022	0,67
01.07.2020	01.07.2022	0,59
01.09.2020	01.09.2022	0,50
01.11.2020	01.11.2022	0,42
01.01.2021	01.01.2023	0,33
01.03.2021	01.03.2023	0,25
01.05.2021	01.05.2023	0,17
01.07.2021	01.07.2023	0,09

Źródło: opracowanie własne

*po dacie wygaśnięcia decyzji przyjęto założenie, że lek ponownie pojawi się w Wykazie leków refundowanych w ramach programów lekowych i preparatów stosowanych w chemioterapii z limitem finansowania obniżonym o 1,0% w stosunku do wartości poprzedniej

**część horyzontu, w której generowane będą oszczędności obliczona została na podstawie stosunku liczby dni horyzontu analizy z obowiązującym obniżonym limitem finansowania do liczby dni horyzontu analizy (przyjęto okres 2 lat, którym odpowiada 730,5 dni)

Opisane postępowanie przeprowadzone zostało dla leków widniejących na liście leków refundowanych w ramach programów lekowych oraz w ramach wykazu leków stosowanych w chemioterapii, wskazanych w *Wykazie leków refundowanych*. Sumaryczny wynik analizy racjonalizacyjnej obliczony został na podstawie sumy oszczędności wygenerowanych dla leków w obu katalogach w okresie zgodnym z horyzontem analizy wpływu na budżet.

Ograniczenia występujące w przyjętej analizie dotyczą przede wszystkim rocznej wielkości refundacji leków, która wyznaczona została proporcjonalnie do wielkości z okresu, dla którego dostępne były *dane refundacyjne NFZ*. Skutkuje to pominięciem w analizie niektórych leków, dla których decyzja refundacyjna wydana została w terminie późniejszym niż okres danych refundacyjnych. Wielkość refundacji dla tych leków w modelu ustalona została tym samym na poziomie 0 PLN, leki te nie generują tym samym oszczędności w żadnym podokresie analizy – oszczędności w horyzoncie są tym samym niższe niż byłyby one w rzeczywistości.

Tabela 2.

Wartości, na podstawie których dokonano oszacowań, o których mowa w § 7 ust. 1 pkt 1 Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r.

Parametr	Wartość
Skala obniżki wysokości limitu finansowania każdego z leków widniejących na liście leków refundowanych w ramach programów lekowych i w ramach wykazu leków stosowanych w chemioterapii	1,0%
Horyzont czasowy analizy	wrzesień 2021 r. – sierpień 2023 r.
Zakres czasowy danych refundacyjnych, na podstawie których dokonano oszacowań w ramach analizy racjonalizacyjnej	styczeń 2019 r. – marzec 2019 r.

4. Wyniki analizy racjonalizacyjnej

Opisane w niniejszej analizie postępowanie przeprowadzone zostało dla leków widniejących na liście leków refundowanych w ramach programów lekowych oraz w ramach katalogu chemioterapeutyków w *Wykazie leków refundowanych*. Sumaryczny wynik analizy racjonalizacyjnej obliczony został na podstawie sumy oszczędności wygenerowanych dla leków w obu katalogach w okresie zgodnym z horyzontem analizy wpływu na budżet. Wyniki analizy racjonalizacyjnej przedstawione zostały w tabeli poniżej.

Tabela 3.
Wyniki analizy racjonalizacyjnej (PLN)

Katalog	Oszczędności
Oszczędności w ramach Programu Lekowego	42 337 423,07
Oszczędności w ramach wykazu leków stosowanych w chemioterapii	7 449 320,97
Suma oszczędności	49 786 744,04

W wyniku zastosowania przedstawionego w niniejszej analizie racjonalizacyjnej rozwiązania płatnik publiczny mógłby zaoszczędzić co najmniej ok. **49,79 mln PLN** w analizowanym horyzoncie czasowym.

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.....	9
Tabela 2. Wartości, na podstawie których dokonano oszacowań, o których mowa w § 7 ust. 1 pkt 1 <i>Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r.</i>	10
Tabela 3. Wyniki analizy racjonalizacyjnej (PLN).....	11

7. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Analiza wpływu na system ochrony zdrowia	Kalinowska A., Binowski G., Kręcisz M. i in., <i>Ultomiris® (rawulizumab) w leczeniu dorosłych chorych na napadową nocną hemoglobinurię. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia</i> , MAHTA 2020
Dane refundacyjne NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia, Komunikat DGL: Wartość refundacji cen leków według kodów EAN (styczeń – marzec 2019)
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
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
Wykaz leków refundowanych	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 października 2020 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 listopada 2020 r.