

## ANALIZA RACJONALIZACYJNA

Wersja 1.0



**SYMKEVI® (TEZAKAFTOR/IWAKAFTOR) W SKOJARZENIU  
Z IWAKAFTOREM W TERAPII PACJENTÓW  $\geq 6$  R.Ż.  
Z MUKOWISCYDOZĄ**



## **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: 22 stycznia 2021 roku

Kierownik projektu: [REDACTED]

Autorzy:

[REDACTED]

opracowanie arkusza MS Excel, opracowanie tekstu analizy

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

Kontrola obliczeń: [REDACTED]

Korekta językowa: [REDACTED]

Kontrola merytoryczna: [REDACTED]

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:

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

Regus Polna Corner  
ul. Ludwika Waryńskiego 3a  
00-645 Warszawa

Zamawiającego reprezentowały:

[REDACTED]

## Spis treści

<b>STRESZCZENIE .....</b>	<b>4</b>
<b>1. CEL ANALIZY .....</b>	<b>5</b>
<b>2. WYDATKI PŁATNIKA ZWIĄZANE Z REFUNDACJĄ PRODUKTU SYMKEVI® W SKOJARZENIU Z PRODUKTEM KALYDECO® .....</b>	<b>5</b>
<b>3. OSZCZĘDNOŚCI PŁATNIKA POZWALAJĄCE NA POKRYCIE WYDATKÓW ZWIĄZANYCH Z REFUNDACJĄ PRODUKTÓW SYMKEVI® I KALYDECO® .....</b>	<b>6</b>
<b>4. PODSUMOWANIE .....</b>	<b>7</b>
<b>5. WNIOSKI .....</b>	<b>8</b>
<b>6. BIBLIOGRAFIA .....</b>	<b>9</b>
<b>7. SPIS ELEMENTÓW .....</b>	<b>10</b>
<b>8. ZESTAWIENIE WERYFIKACYJNE ANALIZY ZE WZGLĘDU NA MINIMALNE WYMAGANIA MINISTERSTWA ZDROWIA.....</b>	<b>11</b>

## Streszczenie

### ■ Cel

Celem analizy jest wskazanie oszczędności pozwalających na pokrycie wydatków związanych z podjęciem pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych terapii skojarzonej preparatu Symkevi® (tezakaftor i iwakaftor, TEZ/IVA) z preparatem Kalydeco® (iwakaftor, IVA) w terapii mukowiscydozy.

Populację rozważaną w analizie stanowią pacjenci w wieku co najmniej 6 lat z mukowiscydozą:

- homozygotyczni pod względem mutacji F508del (populacja F/F), lub
- heterozygotyczni pod względem mutacji F508del oraz z jedną z następujących mutacji genu CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G i 3849+10kbC→T (populacja F/RF).

### ■ Proponowane źródło oszczędności płatnika publicznego

[Redacted text]

### ■ Wyniki

Całkowite wydatki inkrementalne płatnika publicznego związane z finansowaniem terapii skojarzonej preparatu Symkevi® z preparatem Kalydeco® wyniosą [Redacted]. Mogą one zostać pokryte ze wskazanego źródła oszczędności tj. obniżenia cen leków przy wydawaniu kolejnych decyzji refundacyjnych. Oszacowane oszczędności dla NFZ w analizowanym okresie wyniosą około [Redacted].

### ■ Wnioski końcowe

Dodatkowe wydatki płatnika publicznego związane z refundacją terapii skojarzonej preparatu Symkevi® z preparatem Kalydeco® [Redacted]

[Redacted text]

## 1. Cel analizy

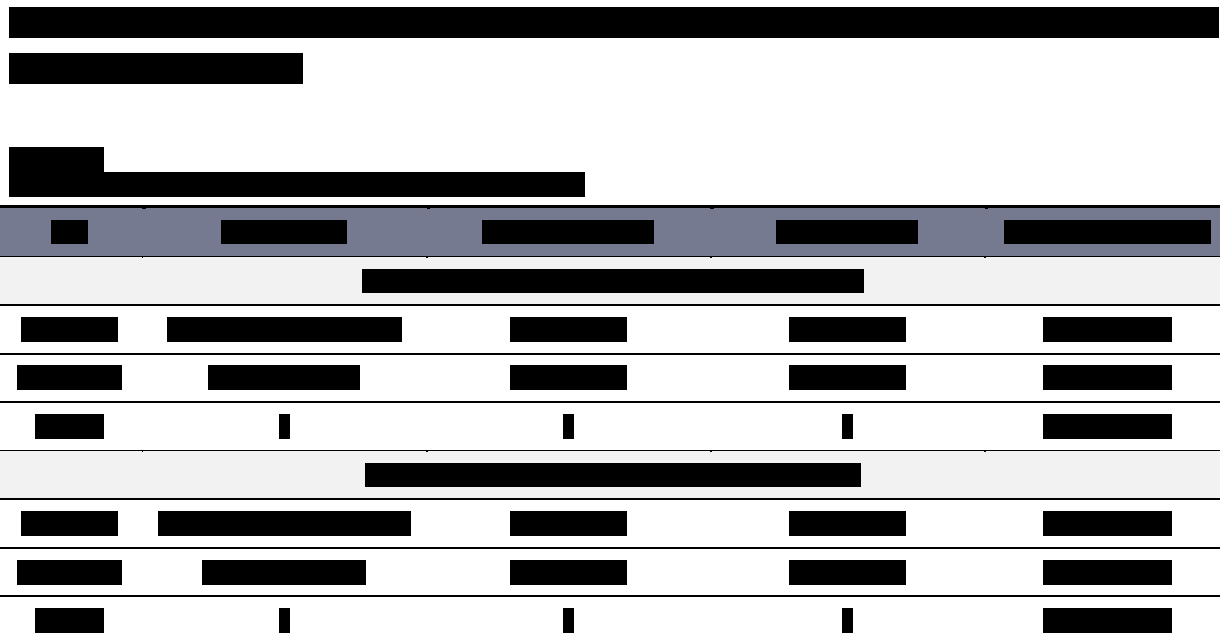
Celem analizy jest wskazanie oszczędności pozwalających na pokrycie wydatków związanych z podjęciem pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych terapii skojarzonej preparatu Symkevi® (tezakaftor i iwakaftor, TEZ/IVA) z preparatem Kalydeco® (iwakaftor, IVA) w terapii mukowiscydozy.

Populację rozważaną w analizie stanowią pacjenci w wieku co najmniej 6 lat z mukowiscydozą:

- homozygotyczni pod względem mutacji F508del (populacja F/F), lub
- heterozygotyczni pod względem mutacji F508del oraz z jedną z następujących mutacji genu CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G i 3849+10kbC→T (populacja F/RF).

## 2. Wydatki płatnika związane z refundacją produktu Symkevi® w skojarzeniu z produktem Kalydeco®

Cenę zbytu netto produktów Symkevi® i Kalydeco® uzyskano od Wnioskodawcy. Cenę urzędową oraz hurtową obliczono przy zastosowaniu stawki VAT w wysokości 8% i marży hurtowej w wysokości 5% (█).



█				
█				
█				
█	█	█	█	█
█				
█	█	█	█	█
█	█	█	█	█
█	█	█	█	█
█				
█	█	█	█	█
█	█	█	█	█
█	█	█	█	█
█				

[Redacted Table]

[Redacted Text]

[Redacted Table]

### 3. Oszczędności płatnika pozwalające na pokrycie wydatków związanych z refundacją produktów Symkevi® i Kalydeco®.

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.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Podsumowanie wyników przeprowadzonych obliczeń przedstawiono w tabeli poniżej (Tabela 4). Szczegółowe wyniki dotyczące oszczędności generowane przez obniżki dla poszczególnych leków znajdują się w załączonym pliku obliczeniowym w zakładce *Obliczenia*.

**Tabela 4.**  
Oszczędności związane z obniżeniem cen przy wydawaniu nowych decyzji

Kategoria	2022	2023
Łącznie (690 leków)	[REDACTED]	[REDACTED]

## 4. Podsumowanie

Łączne dodatkowe wydatki (wydatki inkrementalne) płatnika publicznego związane z finansowaniem produktu Symkevi® w skojarzeniu z produktem Kalydeco® wyniosą [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]

## 5. Wnioski

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]



## 6. Bibliografia

1. [REDACTED]
2. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dostęp: <http://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20111220696>.
3. IkarPro. Dostęp: <https://ikarpro.pl/pl/#/> (20.1.2021).

## 7. Spis elementów

<b>[REDACTED]</b>	
<b>[REDACTED]</b>	
Tabela 3.	Koszty inkrementalne płatnika publicznego [1].....6
<b>[REDACTED]</b>	
Tabela 5.	Podsumowanie analizy racjonalizacyjnej.....7
Tabela 6.	Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 08.01.2021 r. dla analizy racjonalizacyjnej.....11

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

**Tabela 6.**  
**Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 08.01.2021 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	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	str. 6
3. dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku 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	