

Analiza Racjonalizacyjna

Kaftrio[®] + Kalydeco[®]
(eleksakaftor /tezakaftor/iwakaftor + iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat,
którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR*
lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*

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: <https://www.aestimo.eu>
E-mail: biuro@aestimo.eu

Autorzy

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Konflikt interesów

Raport został wykonany na zlecenie i sfinansowany przez firmę Vertex Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o.

[REDACTED]

Wersja 1.0 – ostatnia aktualizacja dnia 11 lutego 2021 r.

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksakaftor/tezekakaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat,
którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR*
lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji
genu *CFTR*

Spis treści

Spis treści.....	3
Wykaz skrótów.....	4
Streszczenie	5
1 Cel analizy.....	6
2 Metodyka	6
3 Dodatkowe wydatki płatnika publicznego – zestawienie wyników BIA	7
■ Proponowane rozwiązanie: [REDACTED] [REDACTED]	8
5 Bilans wydatków płatnika	9
6 Wnioski końcowe	9
Spis tabel.....	10
Piśmiennictwo.....	11

Wykaz skrótów

AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
BIA	Analiza wpływu na budżet (z ang. <i>budget impact analysis</i>)
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
ICD-10	Międzynarodowa Statystyczna Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych (z ang. <i>International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems</i>)
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RSS	Instrument dzielenia ryzyka (z ang. <i>Risk Sharing Scheme</i>)

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksaftor/tezekaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*

Streszczenie

Cel

Celem analizy racjonalizacyjnej jest przedstawienie rozwiązań, których wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia przez Ministra Zdrowia decyzji o refundacji terapii skojarzonej lekami Kaftrio (eleksakaftor, tezakaftor, iwakaftor, skrótowo oznaczany ELX/TEZ/IVA) oraz Kalydeco (iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów powyżej 12 roku życia, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa (CFTR, z ang. *Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator*) lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR z minimalną wartością funkcji (MF, z ang. *Minimal Function*).

Metodyka

W analizie wpływu na budżet oszacowano, że refundacja terapii skojarzonej lekami Kaftrio i Kalydeco we wnioskowanym wskazaniu spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego. W związku z tym, zgodnie z wymogami ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, w uzupełnieniu analizy wpływu na budżet wykonano analizę racjonalizacyjną. W celu wygospodarowania środków, równoważących wpływ na

budżet płatnika decyzji o refundacji leków Kaftrio i Kalydeco w leczeniu chorych na mukowiscydozę o genotypie F/F oraz F/MF w wieku co najmniej 12 lat, przedstawiono rozwiązanie mające na celu optymalizację wydatków płatnika, polegające na [REDACTED]

Wyniki

W przypadku podjęcia decyzji o refundacji leków Kaftrio i Kalydeco we wnioskowanym wskazaniu prognozowany wzrost wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniesie kolejno [REDACTED].

Przeprowadzona analiza racjonalizacyjna wykazała, że poprzez wdrożenie zaproponowanego rozwiązania można uwolnić środki finansowe płatnika publicznego w wysokości co najmniej [REDACTED] rocznie. Uwolnione środki publiczne przewyższają oszacowane w analizie wpływu na budżet, dodatkowe wydatki płatnika publicznego kolejno o [REDACTED].

Wnioski końcowe

Przeprowadzona analiza racjonalizacyjna wykazała, że proponowane rozwiązania pozwolą na uwolnienie środków publicznych w wysokości przewyższającej wzrost kosztów wynikający z analizy wpływu na budżet dla produktów Kaftrio i Kalydeco.

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksakaftor/tezakaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*

1 Cel analizy

Celem analizy racjonalizacyjnej jest przedstawienie rozwiązań, których wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia przez Ministra Zdrowia decyzji o refundacji terapii skojarzonej lekami Kaftrio (eleksakaftor, tezakaftor, iwakaftor, skrótowo oznaczany ELX/TEZ/IVA) oraz Kalydeco (iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów powyżej 12 roku życia, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa (CFTR, z ang. *Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator*) lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR z minimalną wartością funkcji (MF, z ang. *Minimal Function*).

Analiza została wykonana na zlecenie Vertex Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o., w związku z planowanym złożeniem do ministra właściwego do spraw zdrowia wniosku o objęcie refundacją leku Kaftrio i Kalydeco:

- Kaftrio (iwakaftor, tezakaftor, eleksakaftor), 56 tabletek a 75 mg/50 mg/100 mg,
- Kalydeco (iwakaftor), 28 tabletek a 150 mg,

w ramach proponowanego programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru w skojarzeniu z tezakaftorem i eleksakaftorem”. Zapisy programu lekowego przedstawiono w analizie ekonomicznej (*AE Kaftrio 2021*).

2 Metodyka

W podstawowym wariantcie analizy wpływu na budżet oszacowano, że refundacja terapii skojarzonej lekami Kaftrio i Kalydeco we wnioskowanym wskazaniu spowoduje wzrost wydatków kolejno o [REDACTED] w okresie pierwszych dwóch lat refundacji leków Kaftrio i Kalydeco. W związku z tym, zgodnie z wymogami ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (*Ustawa 2011*), w uzupełnieniu analizy wpływu na budżet wykonano analizę racjonalizacyjną.

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksakaftor/tezakaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*

3 Dodatkowe wydatki płatnika publicznego – zestawienie wyników BIA

W wykonanej analizie wpływu na system ochrony zdrowia oszacowano wydatki inkrementalne podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, związane z refundacją leków Kaftrio i Kalydeco w porównaniu z sytuacją, będącą przedłużeniem obecnej praktyki klinicznej (*BIA Kaftrio 2021*).

W analizie wpływu na budżet oszacowano, że refundacja leków Kaftrio i Kalydeco spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego, dlatego rozważono istniejące możliwości wygospodarowania środków na ten cel bez zwiększania łącznych nakładów finansowych w systemie. W opracowaniu przeanalizowano obowiązujące reguły finansowania leków w poszczególnych kategoriach dostępności refundacyjnej, skupiając się przede wszystkim na preparatach, które wymagają największych nakładów finansowych płatnika publicznego, pod kątem możliwości ich optymalizacji. Horyzont czasowy analizy racjonalizacyjnej jest zgodny z horyzontem przyjętym w analizie wpływu na budżet i obejmuje okres od zakładanego wejścia w życie wnioskowanej decyzji refundacyjnej (1 stycznia 2022 r.) do końca okresu obowiązywania pierwszej decyzji refundacyjnej dla produktów Kaftrio i Kalydeco w rozważanym wskazaniu (31 grudnia 2023 r.).

Tabela 1. Dodatkowe wydatki płatnika w analizie BIA.

Horyzont czasowy	Dodatkowe wydatki płatnika publicznego
Rok 2022	██████████
Rok 2023	██████████

W przypadku podjęcia decyzji o objęciu refundacją, prognozowany wzrost wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wynosi ██████████ w kolejnych latach horyzontu czasowego, i jest to kwota, jaką w analizowanym okresie należy wygospodarować w systemie ochrony zdrowia, aby pokryć wydatki wynikające z decyzji o refundacji produktów Kaftrio i Kalydeco w rozważanym wskazaniu, nie powodując przy tym konieczności zwiększenia obciążeń budżetu płatnika publicznego.

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksaftor/tezekaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*

4 Proponowane rozwiązanie:

Proponowany mechanizm polega na

Kalkulacje wysokości uwolnionych środków, wynikających z wprowadzenia zaproponowanego rozwiązania racjonalizacyjnego, przedstawiono poniżej. Analizę wykonano w horyzoncie czasowym zgodnym z horyzontem analizy wpływu na budżet.

Prognozę rocznej wysokości uwolnionych środków w wyniku realizacji proponowanego mechanizmu przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 2. Prognozowane uwolnione środki wynikające z wprowadzenia proponowanego rozwiązania.

Scenariusz	
Stan aktualny ()	
Stan po wprowadzeniu proponowanego rozwiązania	
Uwolnione środki [zł]	

Prognozowana wysokość środków uwolnionych z budżetu w wyniku wprowadzenia zakładanego rozwiązania wynosi rocznie.

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksaftor/tezekaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*

5 Bilans wydatków płatnika

Zestawienie prognozowanych dodatkowych wydatków płatnika wynikających z podjęcia decyzji o refundacji produktów Kaftrio i Kalydeco, oraz szacowanej wielkości uwolnionych środków budżetowych wynikających z wprowadzenia proponowanego mechanizmu racjonalizacyjnego, zamieszczono w poniższej tabeli. Przyjęto założenie, że kwoty oszczędności związane z proponowanym mechanizmem w kolejnych latach będą stałe.

Tabela 3. Bilans wydatków płatnika.

Horyzont czasowy	Przyrost wydatków	Uwolnione środki	Bilans wydatków
Rok 2022	██████████	██████████	██████████
Rok 2023	██████████	██████████	██████████

Wdrożenie proponowanego rozwiązania racjonalizacyjnego pozwoli na uwolnienie środków publicznych przewyższających szacowane w analizowanym okresie wydatki płatnika wynikające z decyzji refundacyjnej dla leków Kaftrio i Kalydeco.

6 Wnioski końcowe

Przeprowadzona w ramach niniejszego opracowania analiza racjonalizacyjna wykazała, że proponowane rozwiązania pozwolą na uwolnienie środków publicznych w wysokości co najmniej równoważącej wzrost kosztów wynikający z analizy wpływu na budżet dla produktów Kaftrio i Kalydeco.

Obliczenia związane z proponowanym rozwiązaniem racjonalizacyjnym uwzględniają najbardziej aktualne – na chwilę przeprowadzania analizy – informacje dotyczące zużycia analizowanych leków i ich kosztów, dostępne na podstawie publikowanych materiałów Narodowego Funduszu Zdrowia i Ministerstwa Zdrowia.

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksaftor/tezekaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*

Spis tabel

Tabela 1. Dodatkowe wydatki płatnika w analizie BIA.....	7
Tabela 2. Prognozowane uwolnione środki wynikające z wprowadzenia proponowanego rozwiązania.....	8
Tabela 3. Bilans wydatków płatnika.....	9

Kaftrio® + Kalydeco®
(eleksakftor/tezekakftor/iwakakftor
+ iwakakftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat,
którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR*
lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji
genu *CFTR*

Piśmiennictwo

- BIA Kafrio 2021** [REDACTED]. Kafrio® + Kalydeco® (eleksakaftor/tezekaftor/iwakaftor + iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu CFTR. Analiza Wpływu na Budżet. Kraków 2021
- MZ 21/12/2020** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 grudnia 2020 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 stycznia 2021 r.
- UR 11/2020/IV** Uchwała Nr 11/2020/IV Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 21 października 2020 roku w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za II kwartał 2020 r.
- Ustawa 2011** Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z późn. zm. Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696.

Kafrio® + Kalydeco®
(eleksakaftor/tezekaftor/iwakaftor
+ iwakaftor)

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni z mutacją F508del i mutacją minimalnej funkcji genu *CFTR*