

Produkt leczniczy Sarclisa®
(izatuksymab) w leczeniu dorosłych
pacjentów z nawrotowym
lub opornym szpiczakiem
plazmocytowym – analiza
racjonalizacyjna

Instytut Arcana
ul. Kuklińskiego 17
30-720 Kraków
Tel/Fax. +48 12 2636 038
www.inar.pl

Kraków, marzec 2021



SPIS TREŚCI

| | |
|---|----|
| LISTA OSÓB ZAANGAŻOWANYCH W OPRACOWANIE ANALIZY | 3 |
| STRESZCZENIE..... | 4 |
| 1. KONTEKST..... | 5 |
| 2. ANALIZA RACJONALIZACYJNA..... | 6 |
| 2.1. PROPONOWANE ROZWIĄZANIE OSZCZĘDNOŚCIOWE..... | 6 |
| 2.2. ZASADNOŚĆ PROPONOWANEGO ROZWIĄZANIA OSZCZĘDNOŚCIOWEGO | 6 |
| 2.3. WARUNKI SYMULACJI | 7 |
| 3. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE..... | 9 |
| 3.1. SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY – BEZ ROZWIĄZANIA OSZCZĘDNOŚCIOWEGO..... | 9 |
| 3.2. SCENARIUSZ NOWY – Z WPROWADZENIEM ROZWIĄZANIA OSZCZĘDNOŚCIOWEGO..... | 9 |
| 4. WYNIKI ANALIZY RACJONALIZACYJNEJ | 10 |
| 4.1. DYSKUSJA WYNIKÓW..... | 10 |
| 5. PIŚMIENNICTWO | 11 |
| 6. SPIS TABEL..... | 12 |

LISTA OSÓB ZAANGAŻOWANYCH W OPRACOWANIE ANALIZY**Autorzy – Instytut Arcana**

| Imię i nazwisko | Zakres prac |
|-----------------|--|
| | <ul style="list-style-type: none">• Analiza racjonalizacyjna• Koncepcja analizy |

Data zakończenia analizy: marzec 2021 r. Aktualizacja danych kosztowych: styczeń/luty 2021

© Copyright by Instytut Arcana Sp. z o.o.

Dane kontaktowe:

Instytut Arcana Sp. z o.o.
ul. Kuklińskiego 17
30-720 Kraków
tel./fax +48 12 263 6038

Raport wykonano na zlecenie firmy:

Sanofi – Aventis Sp. z o.o.

STRESZCZENIE

W niniejszej analizie racjonalizacyjnej przedstawiono rozwiązanie oszczędnościowe, którego wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości co najmniej odpowiadającej wzrostowi kosztów płatnika związanych z finansowaniem ze środków publicznych terapii produktem leczniczym Sarclisa® (izatuksymab) stosowanym w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem (ISA+POM+DEX) w populacji zgodnej z wnioskowanym wskazaniem, wykazanych w analizie wpływu na budżet (BIA) [4].

Zaproponowane w ramach niniejszej analizy racjonalizacyjnej rozwiązanie prowadzące do wygenerowania oszczędności w budżecie NFZ polega na wprowadzeniu do refundacji pierwszego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu w związku z wygaśnięciem ochrony patentowej leku oryginalnego i/lub aktualną rejestracją odpowiednika(ów) w EMA (tj. produkty generyczne).

Zgodnie z zapisami Ustawy refundacyjnej (art. 13 ust. 6 oraz art.15 ust. 7), w przypadku wydania decyzji o objęciu refundacją pierwszego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu podstawą limitu w grupie limitowej **jest cena hurtowa za DDD tego odpowiednika** (w przypadku objęcia refundacją kolejnych odpowiedników podstawa limitu nie może być wyższa niż cena hurtowa za DDD pierwszego odpowiednika). Równocześnie urzędowa cena zbytu pierwszego odpowiednika z uwzględnieniem liczby DDD w opakowaniu jednostkowym, **nie może być wyższa, niż 75% urzędowej ceny zbytu** jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.

W analizie założono konserwatywnie **minimalny poziom 25% oszczędności** wynikający z redukcji łącznej rocznej kwoty refundacji przeznaczonej na lek oryginalny.

Przedstawione w niniejszej analizie racjonalizacyjnej rozwiązanie oszczędnościowe zastosowane w grupach limitowych:

- **1105.0, Fingolimod**
- **1059.0, Dazatynib**
- **1079.0, Sunitynib**
- **1057.0, Cetuximab**

proceedzi do wygenerowania oszczędności w wysokości **57,06 mln PLN rocznie**. Uzyskana kwota oszczędności przewyższa wykazany w analizie BIA najwyższy szacowany wzrost kosztów NFZ związany z finansowaniem ze środków publicznych produktu Sarclisa® (izatuksymab) [4],

Rzeczywiste oszczędności płatnika mogą być jeszcze wyższe, ze względu na fakt, że przeprowadzona interwencja spowoduje wzrost konkurencyjności cenowej i dodatkową presję na obniżenie cen, szczególnie przez producentów droższych leków.

1. KONTEKST

W związku z wejściem w życie z dniem 1 stycznia 2012 r. przepisów Ustawy o refundacji [9], w przypadku składania wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu lub podwyższenie urzędowej ceny zbytu, wymagane jest załączenie analizy racjonalizacyjnej, jeśli dołączona do wniosku analiza wpływu na budżet płatnika publicznego wykazuje wzrost jego wydatków.

Analiza racjonalizacyjna powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji, których wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej, co najmniej wzrostowi kosztów wykazanych w analizie wpływu na budżet.

[REDACTED]

[REDACTED]

Niniejsza analiza racjonalizacyjna przedstawiana jest zatem, zgodnie z przepisami ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (art. 25 pkt 14 lit. c, tiret czwarte) [9], w związku z wykazaniem w analizie wpływu na budżet wzrostu kosztów płatnika publicznego spowodowanych objęciem refundacją na wnioskowanych warunkach.

Analiza została przeprowadzona na zlecenie firmy: **Sanofi – Aventis Sp. z o.o.**

2. ANALIZA RACJONALIZACYJNA

W analizie przedstawiono rozwiązanie oszczędnościowe, którego wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości, co najmniej odpowiadającej wykazanemu wzrostowi kosztów płatnika związanych z refundacją produktu Sarclicsa® (izatuksymab).

W celu zapewnienia maksymalnej wiarygodności wyników analiza została wykonana z uwzględnieniem wymogów zawartych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 8 stycznia 2021 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 [7].

2.1. Proponowane rozwiązanie oszczędnościowe

W ramach racjonalizacji wydatków proponujemy wygenerowanie oszczędności poprzez wprowadzenie do refundacji pierwszego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu w związku z wygaśnięciem ochrony patentowej leku oryginalnego i/lub aktualną rejestracją odpowiedników w EMA (tj. produkty generyczne).

Zgodnie z zapisami Ustawy refundacyjnej (art. 13 ust. 6 oraz art. 15 ust. 7), w przypadku wydania decyzji o objęciu refundacją pierwszego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu podstawą limitu w grupie limitowej **jest cena hurtowa za DDD tego odpowiednika** (w przypadku objęcia refundacją kolejnych odpowiedników podstawa limitu nie może być wyższa niż cena hurtowa za DDD pierwszego odpowiednika). Równocześnie urzędowa cena zbytu pierwszego odpowiednika z uwzględnieniem liczby DDD w opakowaniu jednostkowym, **nie może być wyższa, niż 75% urzędowej ceny zbytu** jedynego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.

W analizie założono konserwatywnie **minimalny poziom 25% oszczędności** wynikające z redukcji łącznej rocznej kwoty refundacji przeznaczonej na lek oryginalny.

2.2. Zasadność proponowanego rozwiązania oszczędnościowego

Zgodnie z zapisem ustawowym (art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte) analiza racjonalizacyjna „(...) powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej, co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet” [9].

Proponowane w niniejszej analizie rozwiązanie w pełni spełnia delegację ustawową i jednocześnie odpowiada na potrzebę, dla której koncepcja analizy racjonalizacyjnej została wprowadzona do legislacji, czyli wykazanie, w jaki sposób uwolnić środki w refundacji w wysokości, co najmniej równej konsekwencjom finansowym refundacji wnioskowanego produktu.

Zastosowanie proponowanego rozwiązania oszczędnościowego spowoduje uwolnienie środków w wysokości odpowiadającej, co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet, co udowodniono prezentując symulację wpływu proponowanego rozwiązania oszczędnościowego na kwotę refundacji w przykładowej grupie limitowej, w której wygenerowane zostaną oszczędności w wysokości odpowiadającej, co najmniej wykazanym kosztom refundacji produktu Sarclicsa® (izatuksymab) we wnioskowanym wskazaniu.

Niezbędne jest przedstawienie społeczeństwu, że oszczędność dla budżetu NFZ uzyskana dzięki zamianie droższych produktów leczniczych na tańsze odpowiedniki nie przyniesie szkody pacjentom, a zaoszczędzone środki będą mogły zostać wykorzystane na refundację leków najnowszej generacji.

Podobne rozwiązania zastosowały inne państwa Unii Europejskiej. Zgodnie z raportem zaprezentowanym przez Europejskie Stowarzyszenie Producentów Leków Generycznych:

- Z badań pięciu największych rynków farmaceutycznych w Europie, przeprowadzonych na zlecenie rządu francuskiego, wynika, że w krajach o najwyższym udziale w rynku generycznych produktów leczniczych wydatki na leki są najniższe [1];
- Szwajcarski fundusz ubezpieczeń zdrowotnych, obliczył, że kraj mógłby zaoszczędzić ponad 114 mln euro, gdyby leki oryginalne zastąpić nawet **najdroższymi z dostępnymi na rynku odpowiednikami generycznymi** [8].

Ministerstwo Zdrowia zainicjowało ustawą refundacyjną działania zmierzające do zwiększenia częstości stosowania tańszych odpowiedników m.in. nakładając na farmaceutów obowiązek informowania pacjentów o możliwości nabycia leku objętego refundacją, innego niż lek przepisany na receptę, o tej samej nazwie międzynarodowej, dawce, postaci farmaceutycznej, która nie powoduje powstania różnic terapeutycznych, i o tym samym wskazaniu terapeutycznym, którego cena detaliczna nie przekracza limitu finansowania ze środków publicznych oraz ceny detalicznej leku przepisanego na receptę. Działania upowszechniające wiedzę o tańszych odpowiednikach będą, zatem uzupełniać i wzmacniać rozpoczęte działania Ministerstwa, budując w pacjentach zaufanie do takich leków i motywując do ich nabywania.

2.3. Warunki symulacji

W symulacji skutków proponowanego rozwiązania oszczędnościowego przyjęto następujące założenia:

- Horyzont czasowy analizy wynosi trzy lata;
- Wszystkie produkty finansowane w styczniu 2021 r. na podstawie Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 21 grudnia 2020 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2021 r. [6], będą nadal podlegały finansowaniu;
- Urzędowe ceny zbytu ogłoszone w obwieszczeniu refundacyjnym z dnia 21 grudnia 2020 r. nie ulegną zmianie [6];
- Podatek VAT pozostanie na niezmiennym poziomie 8%;
- Zużycie poszczególnych leków w przeliczeniu na dzienną dawkę (DDD) w danej grupie limitowej regulowanej obwieszczeniem z dnia 21 grudnia 2020 r. [6] utrzyma się bez zmian, zgodnie z dostępnymi danymi NFZ o wielkości kwoty refundacji w okresie listopad 2019 – październik 2020 roku [5];
- Równocześnie łączna sprzedaż poszczególnych substancji w przeliczeniu na dzienną dawkę (DDD) w danej grupie limitowej osiągnięta po zaistnieniu interwencji utrzyma się bez zmian przez kolejne trzy lata;
- Marża hurtowa w analizowanym horyzoncie czasowym wynosi niezmiennie 5%;
- Interwencja rozpoczyna się w dowolnym momencie wybranym przez Ministerstwo Zdrowia;
- Jako punkt wyjściowy dla przeprowadzenia symulacji skutków wprowadzenia proponowanego rozwiązania oszczędnościowego przyjęto moment, w którym następuje publikacja obwieszczenia z przesuniętą w wyniku wdrożenia interwencji podstawą limitu na pierwszy odpowiednik.

W celu uwolnienia środków finansowych w budżecie płatnika w wielkości odpowiadającej najwyższemu wydatkom inkrementalnym płatnika publicznego związanym z refundacją produktu Sarclisa® na wnioskowanych warunkach, zaprezentowano skutki przeprowadzenia proponowanego rozwiązania oszczędnościowego w grupach limitowych:

- **1105.0, Fingolimod**
- **1059.0, Dazatynib**

- **1079.0, Sunitynib**
- **1057.0, Cetuximab**

W wyniku przeprowadzonej interwencji dochodzi do przesunięcia podstawy limitu na cenę hurtową pierwszego odpowiednika (w przypadku wprowadzenia kolejnych odpowiedników podstawa limitu nie może być wyższa niż cena hurtowa za DDD pierwszego odpowiednika, co w konsekwencji gwarantuje uzyskanie **co najmniej 25% poziomu oszczędności** dla płatnika publicznego).

3. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE

3.1. Scenariusz istniejący – bez rozwiązania oszczędnościowego

Zgodnie z aktualnym obwieszczeniem refundacyjnym oraz w oparciu o dane sprzedażowe DGL NFZ za okres listopad 2019 – październik 2020 r. kwota refundacji leków oryginalnych w poszczególnych grupach wynosiła odpowiednio:

- 42,98 mln PLN - w grupie limitowej 1105.0, Fingolimod
- 45,09 mln PLN - w grupie limitowej 1059.0, Dazatynib
- 68,55 mln PLN - w grupie limitowej 1079.0, Sunitynib
- 71,62 mln PLN - w grupie limitowej 1057.0, Cetuximab

W związku z przyjętym założeniem o braku zmienności struktury sprzedaży (w zakresie liczby refundowanych DDD) w analizowanym horyzoncie czasowym, w scenariuszu bez rozwiązania oszczędnościowego łączne koszty płatnika publicznego w skali roku kształtują się na poziomie około **228,24 mln PLN**. Szczegółowe obliczenia zamieszczono w kalkulatorze *AR_Sarclisa.xlsx* stanowiącym integralną część niniejszej analizy.

3.2. Scenariusz nowy – z wprowadzeniem rozwiązania oszczędnościowego

Zgodnie z zapisami Ustawy refundacyjnej (art. 13 ust. 6 oraz art.15 ust. 7), w przypadku wydania decyzji o objęciu refundacją pierwszego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu podstawą limitu w grupie limitowej **jest cena hurtowa za DDD tego odpowiednika** (w przypadku objęcia refundacją kolejnych odpowiedników podstawa limitu nie może być wyższa niż cena hurtowa za DDD pierwszego odpowiednika). Równocześnie urzędowa cena zbytu pierwszego odpowiednika z uwzględnieniem liczby DDD w opakowaniu jednostkowym, **nie może być wyższa, niż 75% urzędowej ceny zbytu** jedyne odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.

W oparciu o powyższe zapisy ustawowe oraz wygaśnięcie ochrony patentowej dla produktów z rozpatrywanych grup limitowych i/lub trwające rejestracje odpowiedników w EMA [2,3] (tj. produkt generyczny) w ramach niniejszej analizy racjonalizacyjnej zdecydowano się na zaprezentowanie minimalnego wariantu oszczędnościowego wynikającego z wprowadzenia do refundacji pierwszego odpowiednika we wskazanej grupie limitowej (tj. założono tylko 25% redukcję łącznej rocznej kwoty refundacji przeznaczonej na produkty z rozważanej grupy limitowej).

W celu zobrazowania potencjalnych oszczędności płatnika publicznego założono stałe roczne zużycie poszczególnych produktów zgodne z danymi NFZ za okres listopad 2019 – październik 2020 roku. Szacowana całkowita kwota refundacji leków w rozpatrywanych grupach limitowych po zastosowaniu proponowanej interwencji oszczędnościowej wyniesie rocznie **ok. 171,18 mln PLN** (tj. 75 % kwoty refundacji w przypadku braku pierwszego odpowiednika):

- 41 mln PLN - w grupie limitowej 1105.0, Fingolimod
- 39,6 mln PLN - w grupie limitowej 1059.0, Dazatynib
- 52,7 mln PLN - w grupie limitowej 1079.0, Sunitynib
- 53,9 mln PLN - w grupie limitowej 1057.0, Cetuximab

Szczegółowe obliczenia zamieszczono w kalkulatorze *AR_Sarclisa.xlsx* stanowiącym integralną część niniejszej analizy.

4. WYNIKI ANALIZY RACJONALIZACYJNEJ

Przedstawione w niniejszej analizie racjonalizacyjnej rozwiązanie oszczędnościowe zastosowane w rozpatrywanych grupach limitowych prowadzą do wygenerowania oszczędności w wysokości **około 57,06 mln PLN rocznie**. Uzyskana kwota oszczędności przewyższa wykazany w analizie BIA najwyższy szacowany wzrost kosztów NFZ związany z finansowaniem ze środków publicznych produktu Sarclisa® (izatuksymab) [4],

W analizie założono konserwatywnie jedynie 25,0 % oszczędności wynikające z redukcji łącznej rocznej kwoty refundacji przeznaczony na lek oryginalny.

Podsumowanie uzyskanych oszczędności przedstawia Tabela 1. Szczegółowe dane zawarte są w arkuszu kalkulacyjnym programu Microsoft® Office Excel® 2016 załączonym do niniejszej analizy.

Tabela 1. Prognoza rocznych oszczędności płatnika po wdrożeniu interwencji oszczędnościowej

| Grupa limitowa | Roczna kwota refundacji | | Koszt inkrementalny | |
|--------------------|--|-----------------------------------|----------------------|-----------------------|
| | Brak rozwiązania oszczędnościowego [PLN] | Rozwiązanie oszczędnościowe [PLN] | Zmiana kwotowa [PLN] | Zmiana procentowa [%] |
| 1105.0, Fingolimod | 42 979 874 | 32 234 905 | -10 744 968 | -25,0% |
| 1059.0, Dazatynib | 45 086 352 | 33 814 764 | -11 271 588 | -25,0% |
| 1079.0, Sunitynib | 68 545 895 | 51 409 421 | -17 136 474 | -25,0% |
| 1057.0, Cetuximab | 71 624 584 | 53 718 438 | -17 906 146 | -25,0% |
| łącznie | 228 236 705 | 171 177 529 | -57 059 176 | -25,0% |

4.1. Dyskusja wyników

W niniejszej analizie racjonalizacyjnej symulacja efektów proponowanego rozwiązania oszczędnościowego dotyczy rozpatrywanej grupy limitowej. Skutki interwencji opartej na wprowadzeniu do refundacji pierwszych odpowiedników, już tylko w wymienionych grupach pozwolą płatnikowi uzyskać oszczędności wynoszące **około 57,06 mln PLN rocznie**. Kwota ta przewyższa najwyższe koszty inkrementalne płatnika publicznego związane z finansowaniem produktu Sarclisa® (izatuksymab) wykazane w analizie BIA w związku, z czym jest wystarczająca, aby skompensować wydatki wynikające z pozytywnej decyzji refundacyjnej.

Rzeczywiście oszczędności płatnika mogą być jeszcze wyższe, ze względu na fakt, że przeprowadzona interwencja spowoduje wzrost konkurencyjności cenowej i dodatkową presję na obniżenie cen, szczególnie przez producentów droższych leków.

5. PIŚMIENNICTWO

1. DREES, Ministère de la Santé et des Solidarités, Etudes et Résultats No 502, lipiec 2006
 2. <https://pub.rejestrwmedyczne.csioz.gov.pl/#results>
 3. <https://www.ema.europa.eu/en>
- [REDACTED]
5. Narodowy Fundusz Zdrowia, Komunikaty DGL: Informacje o wielkości kwoty refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN (GTIN) lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN (GTIN). Strona internetowa NFZ, aktualności Centrali <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali> oraz <https://zdrowedane.nfz.gov.pl/local/nfz/about.php>
 6. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 lutego 2021r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 marca 2021 r. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych>
 7. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 8 stycznia 2021 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.
 8. Santésuisse, komunikat prasowy z 9 czerwca 2006 r. <https://devel.santesuisse.ch/datasheets/files/200606090822250.PDF>
 9. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2011 r. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.)

6. SPIS TABEL

| | | |
|-----------|---|----|
| Tabela 1. | Prognoza rocznych oszczędności płatnika po wdrożeniu interwencji oszczędnościowej | 10 |
|-----------|---|----|