



Dapagliflozyna (Forxiga[®]) w leczeniu przewlekłej choroby nerek

Analiza racjonalizacyjna

Warszawa, 2021

Autorzy

[Redacted]
[Redacted]
[Redacted]

Dane kontaktowe

HealthQuest Spółka z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. k.
ul. Mickiewicza 63
01-625 Warszawa
tel./fax +48 22 468 05 34
kontakt@healthquest.pl
<http://www.healthquest.pl>

Konflikt interesów

Opracowanie przygotowane na zlecenie i finansowane przez AstraZeneca Pharma Poland Sp. z o.o.

Zamawiający

AstraZeneca Pharma Poland Sp. z o.o.
ul. Postępu 14,
02-676 Warszawa
tel. +48 22 2457300
fax. +48 22 4853007
www.astrazeneca.pl

Spis treści

| | |
|---|----|
| Spis treści | 4 |
| 1 Wstęp | 5 |
| 2 Cel analizy | 8 |
| 3 Wyniki analizy wpływu na budżet..... | 9 |
| 4 Proponowane rozwiązanie..... | 11 |
| 5 Metody..... | 12 |
| 6 Wyniki analizy racjonalizacyjnej..... | 13 |
| 7 Podsumowanie | 14 |
| Spis tabel | 15 |
| Spis ilustracji | 16 |
| Piśmiennictwo | 17 |

1 Wstęp

Zgodnie z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. nr 122 poz. 696) analiza racjonalizacyjna powinna być przedkładana w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.¹ Analiza ta 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.

W zakresie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych (w wąskim rozumieniu tych zapisów) można zidentyfikować następujące rozwiązania:

1. Likwidacja jednej lub więcej grup limitowych.
2. Zmiana definicji jednej lub więcej grup limitowych (redukcja liczby preparatów objętych grupą limitową, utworzenie nowej grupy limitowej, połączenie grup limitowych).
3. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych.
4. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych niestanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych w sposób, który spowodowałby, że leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyroby medyczne, których dotyczyłaby redukcja ceny detalicznej stałyby się podstawą limitów w swoich grupach limitowych.
5. Zmiana poziomu odpłatności pacjenta dla grupy limitowej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych na wyższy w stosunku do obecnie obowiązującego.

Analizując wymienione wyżej warianty można wyszczególnić rozwiązania, w których uwolnienie środków publicznych wiąże się ze wzrostem kosztów po stronie:

- pacjentów,
- podmiotów odpowiedzialnych,
- obu wymienionych wyżej grup.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie pacjentów należą rozwiązania opisane w punktach 1 i 5. Również rozwiązanie opisane w punkcie 2 związane z redukcją liczby preparatów objętych grupą limitową niesie ze sobą znaczne ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie podmiotów odpowiedzialnych należy rozwiązanie opisane w punkcie 2 (wycofanie preparatu), przy czym należy podkreślić, że w tym przypadku również istnieje ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta (np.

w przypadku, w którym pacjenci są przywiązani do leku, który został skreślony z listy refundacyjnej).

Pozostałe zaproponowane rozwiązania prowadzą w konsekwencji do obniżenia limitu w grupie limitowej (lub zwiększenie poziomu odpłatności pacjenta), przy czym konsekwencje (wzrost kosztów tj. w tym wypadku redukcja zysków) w założeniu powinny dotyczyć głównie podmiotów odpowiedzialnych zakładając, że pacjenci z definicji będą wybierali leki o niższych cenach. W przypadku istnienia innego niż cena mechanizmu wpływającego na preferencje pacjentów, przywiązanie do poszczególnych preparatów, których ceny są wyższe od preparatów stanowiących limit w grupie, przy obniżonym limicie będzie skutkowało zwiększeniem kosztów również po stronie pacjenta.

Opracowanie mechanizmu bazującego na rozwiązaniu wyłącznie z zakresu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego lub wyrobów medycznych, który spowoduje uwolnienie środków publicznych bez negatywnych konsekwencji dla pacjentów jest ograniczone. Jedynym mechanizmem, który nie powinien wpływać na wzrost kosztów po stronie pacjentów jest obniżenie cen wszystkich preparatów refundowanych w obrębie danej grupy limitowej. Przy czym należy podkreślić, że obniżenie cen wszystkich preparatów może nieproporcjonalnie w stosunku do cen detalicznych niektórych preparatów zmniejszyć limit w stopniu skutkującym wzrostem kosztów po stronie pacjenta.

Mając na uwadze opisane wyżej mechanizmy dot. uwolnienia środków publicznych należy podkreślić, że z praktycznego punktu widzenia, obniżenie ceny preparatu znajdującego się obecnie na liście refundacyjnej bądź usunięcie go z tej listy jest utrudnione ze względu na obowiązujące przepisy ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. W myśl ustawy (art. 33):

1. Minister właściwy do spraw zdrowia uchyla decyzję administracyjną o objęciu refundacją leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, w przypadku:

- 1) stwierdzenia braku deklarowanej skuteczności terapeutycznej;
- 2) stwierdzenia ryzyka stosowania niewspółmiernego do efektu terapeutycznego;
- 3) podważenia wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w art. 12 pkt 3-10;
- 4) gdy zobowiązanie, o którym mowa w art. 25 pkt 4, nie zostanie dotrzymane w zakresie dotyczącym zapewnienia ciągłości dostaw lub rocznej wielkości dostaw, i nastąpi niezaspokojenie potrzeb świadczeniobiorców.

Minister Zdrowia podejmuje również decyzję o skróceniu czasu obowiązywania decyzji o refundacji lub zmianie ceny urzędowej w oparciu o wniosek, do którego złożenia uprawniony jest Wnioskodawca (podmiot odpowiedzialny, przedstawiciel podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. - Prawo farmaceutyczne, wytwórca wyrobów medycznych, jego autoryzowany przedstawiciel, dystrybutor albo importer, w rozumieniu ustawy z dnia 20 maja 2010 r. o wyrobach medycznych (Dz. U. Nr 107, poz. 679), a także podmiot działający na rynku spożywczym).

W związku z powyższym, wykonanie analizy racjonalizacyjnej pokazującej rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, ograniczają przepisy, które warunkują uwolnienie tych środków decyzją wielu podmiotów, na które Wnioskodawca nie ma wpływu.

Ograniczenia formalne oraz trudne do przewidzenia mechanizmy i strategie rynkowe poszczególnych podmiotów, skutkują przyjęciem szeregu założeń. Stąd zaproponowane rozwiązanie racjonalizacyjne, niezależnie od jego typu, powinno być interpretowane zawsze w kontekście powyższych ograniczeń i przyjętych założeń.

2 Cel analizy

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia wykazała, że finansowanie ze środków publicznych dapagliflozyny (Forxiga®) w leczeniu dorosłych pacjentów z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek (PChN), współczynnikiem przesączania kłębuszkowego (eGFR) <60 ml/min/1,73 m², wskaźnikiem albumina/kreatynina (ACR) ≥200 mg/g, leczonych terapią opartą na inhibitorach konwertazy angiotensyny (ACEI) lub antagonistach receptora angiotensyny (ARB) nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii, związane jest z dodatkowymi obciążeniami dla budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia i pacjenta niezależnie od przedstawionego wariantu analizy.²

Celem niniejszej analizy jest przedstawienie rozwiązania, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków finansowych płatnika publicznego w wysokości odpowiadającej dodatkowym kosztom finansowania dapagliflozyny w docelowej populacji chorych z przewlekłą chorobą nerek w kolejnych latach.

3 Wyniki analizy wpływu na budżet

Analizę przeprowadzono w 4-letnim horyzoncie czasowym z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie najnowszych danych NFZ opracowanych i opublikowanych 30 czerwca 2020 r., badania Stengel 2019³ oraz wyników badania ankietowego. Populację, w której analizowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji oszacowano z uwzględnieniem odsetka pacjentów skłonnych dopłacić za lek [REDAKTOWANE] prognozowanego udziału w rynku dapagliflozyny w kolejnych latach finansowania oraz stopnia przestrzegania zaleceń lekarskich. W analizie wykluczono chorych, którzy są już leczeni dapagliflozyną z powodu cukrzycy. Przyjęto, że prowadzenie chorego z przewlekłą chorobą nerek oraz modyfikacje leczenia są podejmowane przez nefrologa. W analizie uwzględniono stopniowe włączanie chorych mając na uwadze czas oczekiwania na wizytę u lekarza specjalisty w ramach opieki ambulatoryjnej (dane NFZ).

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

Mając na uwadze stosowanie dapagliflozyny jako leku dodawanego do leczenia standardowego (terapia *add-on*) oraz przy konserwatywnym założeniu utrzymania dotychczasowego dawkowania leków z terapii standardowej przyjęto, że koszty terapii standardowej nie różnicują analizowanych scenariuszy i pominięto je w analizie. W ramach kosztów leków stosowanych w przewlekłej chorobie nerek uwzględniono jedynie koszt dapagliflozyny.

Zgodnie z wynikami *Analizy klinicznej*⁴ stosowanie dapagliflozyny w analizowanej populacji chorych związane jest m.in. z redukcją ryzyka długoterminowej dializoterapii, przeszczepu serca oraz zgonu z przyczyn sercowo-naczyniowych lub hospitalizacji z powodu niewydolności serca. Z tego względu w analizie uwzględniono redukcję liczby powyższych zdarzeń i oszacowano oszczędności związane z unikniętymi zdarzeniami.

W analizie nie uwzględniono kosztów niemedycznych i pośrednich ze względu na brak specyficznych danych koniecznych do wiarygodnego oszacowania tych kosztów w analizowanej zawężonej populacji chorych z przewlekłą chorobą nerek. Brak uwzględnienia kosztów pośrednich oznacza, że całkowite koszty leczenia docelowej populacji chorych mogą być niedoszacowane.

[REDACTED]
[REDACTED]

Analiza wpływu na budżet wykazała, że finansowanie dapagliflozyny w docelowej populacji chorych związane jest z dodatkowymi wydatkami budżetowymi niezależnie od przedstawionego wariantu analizy. [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Tab. 1. Największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ w wariantcie [REDACTED]

| | I rok | II rok | III rok | IV rok |
|------------------------|------------|------------|------------|------------|
| Dodatkowe wydatki, PLN | [REDACTED] | [REDACTED] | [REDACTED] | [REDACTED] |

4 Proponowane rozwiązanie

W ramach analizy racjonalizacyjnej wykorzystano możliwość obniżenia limitu finansowania, który wynikać będzie z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie stosowanych substancji czynnych [REDAKTOWANE]

W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, które mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedynego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.¹ Mając na uwadze specyfikę refundacji leków w programach lekowych (leki wydawane bezpłatnie), należy założyć, że wprowadzenie tańszego odpowiednika spowoduje automatyczne, natychmiastowe obniżenie ceny wszystkich leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do poziomu ceny wprowadzonego odpowiednika - w tym wypadku oznacza to co najmniej 25% redukcję obowiązującej ceny urzędowej leków będących przedmiotem niniejszej analizy.

Analizę pokazującą rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, oparto na mechanizmie opisanym w pkt. 3 rozdziału 1, tj. założeniu redukcji ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego).

Wybrane leki stosowane są w programach lekowych, co oznacza 100% poziom refundacji (kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatny). W związku z powyższym, obniżenie limitu finansowania leków ze środków publicznych nie spowoduje jednocześnie żadnych dodatkowych obciążeń dla świadczeniobiorców.

5 Metody

Analizę racjonalizacyjną przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego w horyzoncie 4 lat (I, II, III i IV rok BIA).

Założono, że uwolnione środki będą na stałym poziomie w kolejnych latach. Z uwagi na przyjęte w analizach wprowadzenie finansowania dapagliflozyny w 2022 roku, analiza racjonalizacyjna obejmuje okres od 2022 roku do 2025 roku (I-IV rok BIA).

Symulację przeprowadzono z uwzględnieniem jedynie kosztów refundacji leków środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych dostępnych w aptece na receptę, co wynika z braku wpływu proponowanego rozwiązania na inne obszary ochrony zdrowia.

W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, które mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedynego odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.¹ Dodatkowo wykorzystano rozwiązanie polegające na informowaniu pacjentów o istnieniu odpowiedników tańszych niż podstawa limitu dla stosowanych przez nich leków, co spowoduje większy udział tańszych odpowiedników w sprzedaży aptecznej, a w konsekwencji obniżenie limitu finansowania w grupach limitowych i oszczędności dla NFZ.

Roczne koszty refundacji leków w ramach programów lekowych przyjęto zgodnie z komunikatem Departamentu Gospodarki Lekami (DGL) za okres ostatnich 12 miesięcy, tj. październik 2020-wrzesień 2021.¹⁴

6 Wyniki analizy racjonalizacyjnej

Zgodnie z komunikatem Departamentu Gospodarki Lekami (DGL), określającym wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii w ciągu ostatnich 12 miesięcy, łączne koszty refundacji

[REDACTED]

W poniższej tabeli przedstawiono roczne koszty refundacji [REDACTED] oraz prognozowane oszczędności.

Oszacowania przeprowadzono na podstawie komunikatów DGL za okres październik 2020-wrzesień 2021.

Tab. 2. Roczne koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności.

| Lek | Redukcja ceny | Kwota refundacji w okresie ostatnich 12 mies., PLN | Kwota refundacji po redukcji cen, PLN | Oszczędności, PLN |
|------------|---------------|--|---------------------------------------|-------------------|
| [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] |

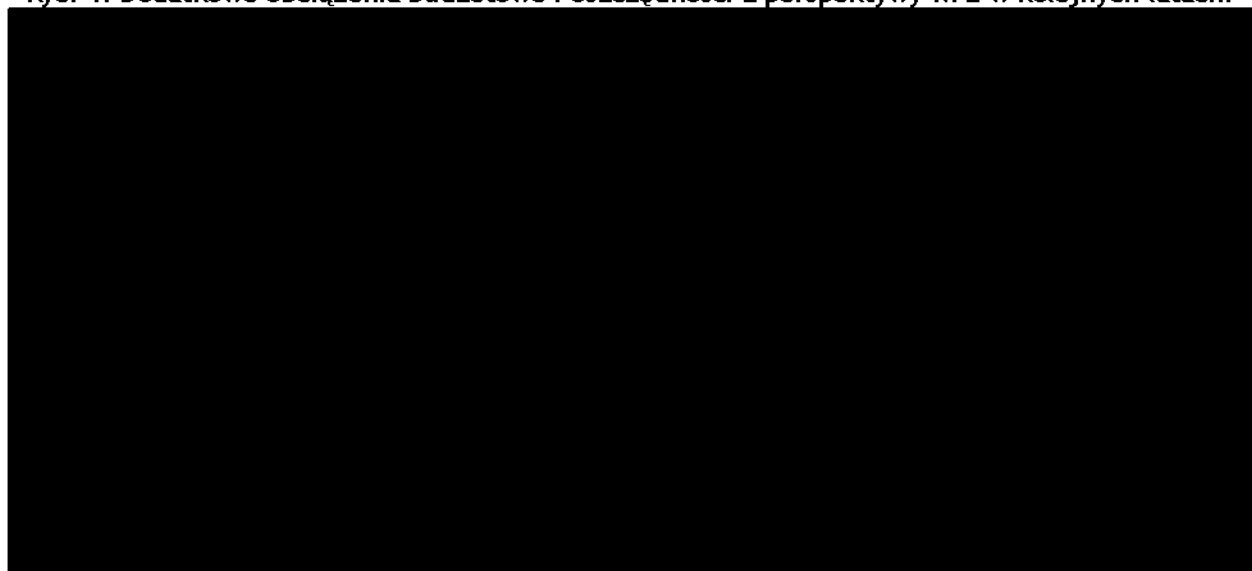
7 Podsumowanie

Potencjalne oszczędności dla płatnika publicznego w Polsce oszacowano na [REDAKTOWANO] w każdym kolejnym roku analizy, a uwolnione środki mogą zostać wykorzystane na finansowanie ze środków publicznych dapagliflozyny we wnioskowanym wskazaniu.

Na poniższym wykresie przedstawiono dodatkowe obciążenia budżetowe związane z finansowaniem dapagliflozyny w docelowej populacji chorych w kolejnych 4 latach analizy (odpowiednio [REDAKTOWANO]) oraz prognozowane oszczędności ([REDAKTOWANO]).

Wygenerowane oszczędności będą wystarczające do pokrycia obciążeń budżetowych związanych z finansowaniem dapagliflozyny w leczeniu dorosłych pacjentów z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek (PChN), współczynnikiem przesączania kłębuszkowego (eGFR) <60 ml/min/1,73 m², wskaźnikiem albumina/kreatynina (ACR) ≥200 mg/g, leczonych terapią opartą na inhibitorach konwertazy angiotensyny (ACEI) lub antagonistach receptora angiotensyny (ARB) nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii.

Ryc. 1. Dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach.



Spis tabel

| | |
|---|----|
| Tab. 1. Największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ w wariacie [REDACTED] (scenariusz maksymalny). | 10 |
| Tab. 2. Roczne koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności. | 13 |

Spis ilustracji

| | |
|--|----|
| Ryc. 1. Dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach. | 14 |
|--|----|

Piśmiennictwo

¹ 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).

² [redacted] Dapagliflozyna (Forxiga®) w leczeniu przewlekłej choroby nerek. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia. Warszawa, 2021.

³ Stengel B, Metzger M, Combe C, Jacquelinet C, Briçon S, Ayav C, Fouque D, Lavoie M, Frimat L, Pascal C, Herpe YE, Morel P, Deleuze JF, Schanstra JP, Lange C, Legrand K, Speyer E, Liabeuf S, Robinson BM, Massy ZA. Risk profile, quality of life and care of patients with moderate and advanced CKD: The French CKD-REIN Cohort Study. Nephrol Dial Transplant. 2019 Feb 1;34(2):277-286.

⁴ [redacted] Dapagliflozyna (Forxiga®) w leczeniu przewlekłej choroby nerek. Analiza kliniczna. Warszawa, 2021.

⁵ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 października 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2021 r.

[redacted]

¹⁴ Komunikaty Departamentu Gospodarki Lekami (DGL). Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii w okresie ostatnich 12 miesięcy (styczeń - wrzesień 2020, styczeń - grudzień 2020, styczeń-wrzesień 2021). <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/> [dostęp 23.11.2021 r.].