

# Analiza Racjonalizacyjna

## Onureg<sup>®</sup> (azacytydyna doustna)

w leczeniu podtrzymującym po terapii indukującej lub indukującej i konsolidującej u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji lub całkowitej remisji z niepełną regeneracją morfologii krwi i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych lub nie wyrazili zgody na taką procedurę

## 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: <http://www.aestimo.eu>  
E-mail: [biuro@aestimo.eu](mailto:biuro@aestimo.eu)

## Autorzy

---

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]

## Konflikt interesów

---

Raport został wykonany na zlecenie i sfinansowany przez firmę Bristol-Myers Squibb Services Sp. z o.o.  
[REDACTED]

Wersja 1.0 – ostatnia aktualizacja dnia 09 marca 2022 r.

Onureg® (azacytydyna doustna)

w leczeniu podtrzymującym u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych

## 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 .....	6
4 Proponowane rozwiązanie: nieprzedłużenie decyzji refundacyjnych dla części z obecnie refundowanych leków na liście A.....	7
5 Bilans wydatków płatnika .....	8
6 Wnioski końcowe .....	9
Spis tabel.....	9
Piśmiennictwo.....	10

## Wykaz skrótów

AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
BIA	Analiza wpływu na budżet (z ang. <i>budget impact analysis</i> )
AML	Ostra białaczka szpikowa (z ang. <i>acute myeloid leukemia</i> )
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RSS	Instrument dzielenia ryzyka (z ang. <i>risk-sharing scheme</i> )

Onureg® (azacytydyna doustna)

w leczeniu podtrzymującym u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych

## 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 objęciu refundacją azacytydyny doustnej (produkt leczniczy Onureg) w leczeniu podtrzymującym po terapii indukującej lub indukującej i konsolidującej u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji lub całkowitej remisji z niepełną regeneracją morfologii krwi i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych lub nie wyrazili zgody na taką procedurę.

### Metodyka

W analizie wpływu na budżet oszacowano, że objęcie refundacją produktu leczniczego Onureg 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 objęciu refundacją

leku Onureg przedstawiono rozwiązanie mające na celu optymalizację wydatków płatnika, polegające na [REDAKTOWANE]

### Wyniki

W przypadku podjęcia decyzji o objęciu refundacją produktu Onureg, prognozowany wzrost wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniesie kolejno [REDAKTOWANE] i [REDAKTOWANE], w pierwszych czterech latach realizacji programu.

Przeprowadzona analiza racjonalizacyjna wykazała, że poprzez wdrożenie zaproponowanego rozwiązania można uwolnić środki finansowe płatnika publicznego w wysokości [REDAKTOWANE] rocznie.

Uwolnione środki publiczne przewyższają oszacowane w analizie wpływu na budżet, dodatkowe wydatki płatnika publicznego kolejno o [REDAKTOWANE] i [REDAKTOWANE] w pierwszych dwóch latach refundacji.

### 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 leku Onureg.

## 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 objęciu refundacją azacytydyny doustnej (produkt leczniczy Onureg) w leczeniu podtrzymującym po terapii indukującej lub indukującej i konsolidującej u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji lub całkowitej remisji z niepełną regeneracją morfologii krwi i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych lub nie wyrazili zgody na taką procedurę.

## 2 Metodyka

W podstawowym wariantcie analizy wpływu na budżet oszacowano, że objęcie refundacją produktu leczniczego Onureg we wnioskowanym wskazaniu spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego (*BIA Onureg 2022*). 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.

Analizę racjonalizacyjną przeprowadzono jedynie dla wariantu uwzględniającego zaproponowany przez Wnioskodawcę instrument dzielenia ryzyka (RSS), gdyż wariant bez RSS przedstawia jedynie teoretyczny poziom refundacji, który nie będzie mieć zastosowania w rzeczywistości płatnika publicznego.

## 3 Dodatkowe wydatki płatnika publicznego – zestawienie wyników BIA

W wykonanej analizie wpływu na system ochrony zdrowia oszacowano wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, związane z wydaniem decyzji o objęciu refundacją produktu leczniczego Onureg w porównaniu z sytuacją, w której terapia azacytydyną doustną nie jest finansowana ze środków publicznych w ramach wykazu leków refundowanych dostępnych w programie lekowym we wnioskowanym wskazaniu (*BIA Onureg 2022*).

W analizie wpływu na budżet oszacowano, że objęcie refundacją ze środków publicznych produktu Onureg spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego, dlatego rozważono istniejące możliwości wygospodarowania środków na ten cel bez zwiększania łącznych nakładów finansowych w systemie.

Onureg® (azacytydyna doustna)

w leczeniu podtrzymującym u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych

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 pierwszych dwóch lat od zakładanego wejścia w życie wnioskowanej decyzji (przedział czasowy od 1 stycznia 2023 r. do 31 grudnia 2024 r.).

Tabela 1. Dodatkowe wydatki płatnika w analizie BIA (na podst. BIA Onureg 2022; wariant podstawowy z uwzględnieniem RSS).

Horyzont czasowy	Rok 1 (2023 r.)	Rok 2 (2024 r.)
Wydatki inkrementalne (scenariusz nowy vs scenariusz istniejący)	██████████	██████████

Prognozowany w analizie wpływu na budżet wzrost wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wynosi od ██████████ do ██████████ rocznie (wariant podstawowy z uwzględnieniem RSS) i jest to kwota, jaką w analizowanym okresie należy wygospodarować w systemie ochrony zdrowia, aby pokryć wydatki wynikające z decyzji o objęciu refundacją produktu Onureg we wskazaniu leczenia podtrzymującego w AML, nie powodując przy tym konieczności zwiększenia obciążeń budżetu płatnika publicznego.

## 4 Proponowane rozwiązanie: nieprzedłużenie decyzji refundacyjnych dla części z obecnie refundowanych leków na liście A

Proponowany mechanizm polega na ██████████

██████████ Cenę graniczną przyjęto na poziomie, który umożliwi świadczeniobiorcom swobodny dostęp do leku w przypadku zakupu z pełną odpłatnością (na rynku prywatnym). ██████████

██████████ W związku z powyższym, przesunięcie ww. produktów leczniczych do sprzedaży komercyjnej nie powinno skutkować istotnym obciążeniem dla budżetu pacjentów.

Onureg® (azacytydyna doustna)

w leczeniu podtrzymującym u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych

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

W obliczeniach posłużono się

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	[zł]
Stan aktualny ( )	
Stan po wprowadzeniu proponowanego rozwiązania	
<b>Uwolnione środki [zł]</b>	

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

## 5 Bilans wydatków płatnika

Zestawienie prognozowanych dodatkowych wydatków płatnika wynikających z analizy wpływu na budżet, oraz szacowanej wielkości uwolnionych środków budżetowych wynikających z wprowadzenia proponowanego mechanizmu racjonalizacyjnego, zamieszczono w poniższej tabeli.

Tabela 3. Bilans wydatków płatnika.

Horyzont czasowy	Rok 1 (2023 r.)	Rok 2 (2024 r.)
Dodatkowe wydatki wynikające z analizy wpływu na budżet [zł]		
Uwolnione środki wynikające z analizy racjonalizacyjnej [zł]		
<b>Bilans wydatków [zł]</b>		

Wdrożenie proponowanego rozwiązania racjonalizacyjnego pozwoli na uwolnienie środków publicznych przewyższających szacowane w analizowanym okresie wydatki płatnika wynikające z decyzji o objęciu

Onureg® (azacytydyna doustna)

w leczeniu podtrzymującym u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych



refundacją produktu leczniczego Onureg, kolejno o [REDACTED] i [REDACTED] w pierwszych dwóch latach refundacji w rozważanym wskazaniu.

## 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 produktu leczniczego Onureg.

### Spis tabel

Tabela 1. Dodatkowe wydatki płatnika w analizie BIA (na podst. <i>BIA Onureg 2022</i> ; wariant podstawowy z uwzględnieniem RSS). .....	7
Tabela 2. Prognozowane uwolnione środki wynikające z wprowadzenia proponowanego rozwiązania.....	8
Tabela 3. Bilans wydatków płatnika.....	8

## Piśmiennictwo

- BIA Onureg 2022** Analiza wpływu na budżet: Onureg (azacytydyna doustna) w leczeniu podtrzymującym po terapii indukującej lub indukującej i konsolidującej u dorosłych chorych z ostrą białaczką szpikową, którzy są w całkowitej remisji lub całkowitej remisji z niepełną regeneracją morfologii krwi i nie kwalifikują się do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych lub nie wyrazili zgody na taką procedurę. Aestimo, Kraków 2022
- MZ 21/02/2022** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 lutego 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 marca 2022 r.  
Data ostatniego dostępu: 25.02.2022 r.
- DGL 23/02/2022** Raport refundacyjny z dnia 23 lutego 2022 r. Centrali NFZ dotyczący wielkości kwoty refundacji i pozostałych parametrów określonych w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych za okres styczeń-grudzień 2021 r.  
<https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8147.html>
- 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.