

Analiza Racjonalizacyjna

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

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat,
którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu mukowiscydo-
zowego przezłonowego regulatora przewodnictwa (*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: <http://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 20 maja 2022 r.

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

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat,
którzy mają co najmniej jedną mutację F508del 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	6
4 Proponowane rozwiązanie: [REDACTED]	7
[REDACTED]	7
5 Bilans wydatków płatnika	8
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>)
CFTR	Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RSS	Instrument dzielenia ryzyka (z ang. <i>risk-sharing scheme</i>)

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

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat,
którzy mają co najmniej jedną mutację F508del 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 objęciu refundacją terapii skojarzonej lekami Kaftrio (eleksakaftor, tezakaftor, iwakaftor) oraz Kalydeco (iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów powyżej 6 roku życia, którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu mukowiscydozowego przewodnictwa (CFTR, z ang. Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator).

Metodyka

W analizie wpływu na budżet oszacowano, że objęcie refundacją produktów leczniczych 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 objęciu refundacją terapii skojarzonej lekami Kaftrio i Kalydeco przedstawiono rozwiązanie mające

na celu optymalizację wydatków płatnika, polegające

Wyniki

W przypadku podjęcia decyzji o objęciu refundacją terapii skojarzonej Kaftrio + Kalydeco, prognozowany wzrost wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wyniesie kolejno zł i zł, w pierwszych dwóch latach realizacji programu.

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

Uwolnione środki publiczne przewyższają oszacowane w analizie wpływu na budżet, dodatkowe wydatki płatnika publicznego kolejno o zł i zł 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 terapii skojarzonej.

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 rozszerzeniu zakresu refundacji terapii skojarzonej lekami Kaftrio (eleksakaftor, tezakaftor, iwakaftor) oraz Kalydeco (iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy do pacjentów w wieku co najmniej 6 lat, którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu mukowiscydowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa (CFTR).

2 Metodyka

W podstawowym wariantcie analizy wpływu na budżet oszacowano, że objęcie refundacją produktów leczniczych Kaftrio i Kalydeco we wnioskowanym wskazaniu spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego (*BIA Kaftrio 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.

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 produktów leczniczych Kaftrio oraz Kalydeco w porównaniu z sytuacją, w której terapia skojarzona nie jest finansowana ze środków publicznych w ramach wykazu leków refundowanych dostępnych w programie lekowym we wnioskowanym wskazaniu (*BIA Kaftrio 2022*).

W analizie wpływu na budżet oszacowano, że objęcie refundacją ze środków publicznych terapii skojarzonej Kaftrio + 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

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

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat,
którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu CFTR

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 podstawie BIA Kaftrio 6+ 2022; [REDACTED])

Horyzont czasowy	Rok 1	Rok 2
Wydatki inkrementalne (scenariusz nowy vs scenariusz istniejący)	[REDACTED] zł	[REDACTED] zł

Prognozowany w analizie wpływu na budżet wzrost wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wynosi od [REDACTED] zł do [REDACTED] zł [REDACTED] i jest to kwota, jaką w analizowanym okresie należy wygospodarować w systemie ochrony zdrowia, aby pokryć wydatki wynikające z decyzji o objęciu refundacją terapii skojarzonej lekami Kaftrio i Kalydeco we wskazaniu leczenia mukowiscydozy, nie powodując przy tym konieczności zwiększenia obciążeń budżetu płatnika publicznego.

4 Proponowane rozwiązanie: [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

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

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat,
którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu CFTR

W obliczeniach posłużono się [REDAKTOWANE]

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

Prognozowana wysokość środków uwolnionych z budżetu w wyniku wprowadzenia zakładanego rozwiązania wynosi [REDAKTOWANE] mln zł rocznie.

5 Bilans wydatków płatnika

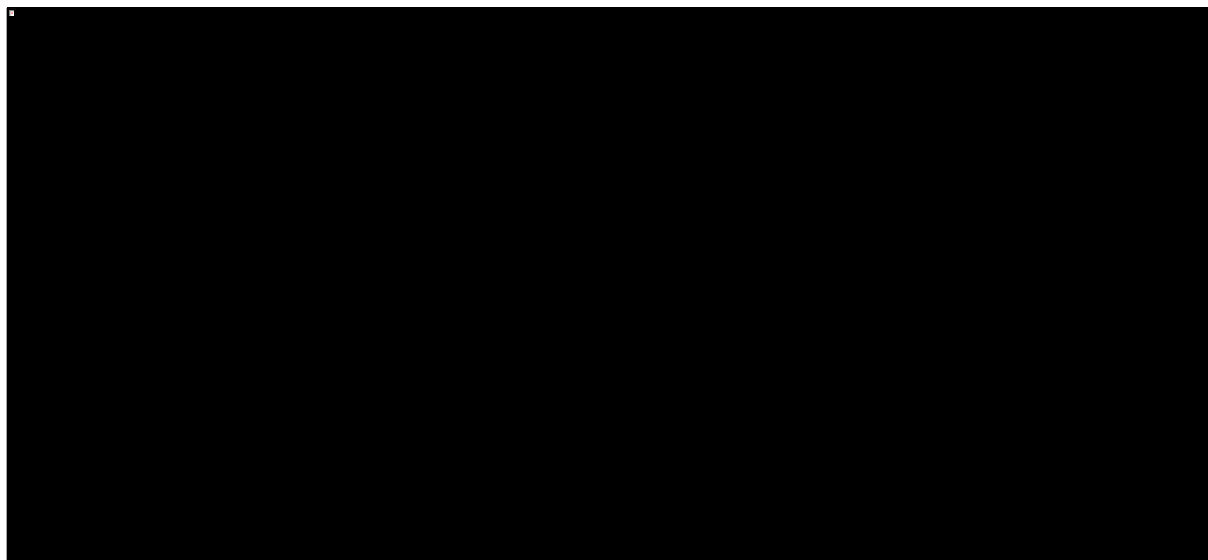
Zestawienie prognozowanych dodatkowych wydatków płatnika wynikających z analizy wpływu na budżet, oraz szacowanej wielkości uwolnionych środków budżetowych wynikających z wprowadzenia proponowanego mechanizmu racjonalizacyjnego, zamieszczono w poniższej tabeli.

Tabela 3. Bilans wydatków płatnika.

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

Na poniższym wykresie przedstawiono wyniki bilansu wydatków.

Wykres 1. Bilans wydatków płatnika.



Wdrożenie proponowanego rozwiązania racjonalizacyjnego pozwoli na uwolnienie środków publicznych przewyższających szacowane w analizowanym okresie wydatki płatnika wynikające z decyzji o objęciu refundacją terapii skojarzonej Kaftrio + Kalydeco, kolejno o ████████ zł i ████████ zł 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 terapii skojarzonej lekami Kaftrio oraz Kalydeco.

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

w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat,
którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu CFTR

Spis tabel

Tabela 1. Dodatkowe wydatki płatnika w analizie BIA (na podstawie <i>BIA Kaftrio 6+ 2022</i> ; [REDACTED])	7
Tabela 2. Prognozowane uwolnione środki wynikające z wprowadzenia proponowanego rozwiązania	8
Tabela 3. Bilans wydatków płatnika	8

Piśmiennictwo

- BIA Kaftrio 6+ 2022** Analiza wpływu na budżet: Kaftrio (eleksakaftor/tezakaftor/iwakaftor) + Kalydeco (iwakaftor) w leczeniu mukowiscydozy u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat, którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu mukowiscydozowego przeźbłonowego regulatora przewodnictwa (CFTR). Aestimo, Kraków 2022
- MZ 20/04/2022** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 kwietnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 maja 2022 r.
Data ostatniego dostępu: 11.05.2022 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.