



IGNORANTIA NOCET

# LIBTAYO<sup>®</sup> (cemiplimab) w monoterapii w leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnokomórkowym skóry

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia  
Wersja 1.0

Wykonawca:  
MAHTA Sp. z o.o.  
ul. Modra 90/111  
02 - 661 Warszawa  
Tel. biuro: +48 533 399 146  
E-mail: biuro@mahta.pl

Przygotowano dla:  
Sanofi Aventis Sp. z o. o.

Warszawa, 29.07.2022 r.

Osoby do kontaktu:

## **Cezary Pruszko**

tel.: +48 602 10 44 55  
cezary.pruszko@mahta.pl

## **Michał Jachimowicz**

tel.: +48 608 555 595  
michal.jachimowicz@mahta.pl

## **MAHTA Sp. z o.o.**

Warszawa 02-616  
ul. Modra 90/111

zarejestrowana w Sądzie  
Rejonowym dla m.st. Warszawy,  
XIII Wydział Gospodarczy  
Krajowego Rejestru Sądowego

KRS: 0000331173  
NIP: 521-352-90-98  
REGON: 141874221

Kapitał zakładowy:  
5 000,00 PLN  
opłacony w pełnej wysokości

nr rachunku bankowego:  
mBank  
35 1140 2017 0000 4702 1008 6223

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Koncepcja analizy;</li> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Zdefiniowanie populacji;</li> <li>⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;</li> <li>⊗ Aspekty etyczne i społeczne</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Ocena kosztów;</li> <li>⊗ Zdefiniowanie populacji;</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Kontrola jakości</li> </ul>

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez Cezarego Pruszkę i Michała Jachimowicza.

**Konflikt interesów:**

Raport wykonano na zlecenie firmy Sanofi Aventis Sp. z o. o która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

---

## Spis treści

<b>Indeks skrótów .....</b>	<b>6</b>
<b>Streszczenie.....</b>	<b>7</b>
<b>1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia .....</b>	<b>13</b>
<b>2. Analiza wpływu na budżet.....</b>	<b>13</b>
2.1. Metodyka analizy.....	13
2.2. Horyzont czasowy .....	14
2.3. Perspektywa .....	15
2.4. Scenariusze porównywane .....	15
2.5. Populacja.....	16
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....	16
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....	21
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....	28
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją .....	28
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją .....	30
2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach.....	31
2.6. Analiza kosztów.....	32

---

---

2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej .....	32
2.6.2. Koszt przepisania i podania wnioskowanej technologii medycznej .....	34
2.6.3. Modelowanie kosztów .....	35
2.6.4. Podsumowanie kosztów.....	39
2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....	40
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....	43
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe.....	43
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe .....	43
<b>3. Analiza wrażliwości.....</b>	<b>49</b>
<b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....</b>	<b>65</b>
<b>5. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>	<b>65</b>
<b>6. Założenia i ograniczenia.....</b>	<b>68</b>
<b>7. Podsumowanie i wnioski końcowe.....</b>	<b>70</b>
<b>8. Załączniki .....</b>	<b>73</b>
8.1. Uzasadnienie finansowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącej grupy limitowej.....	73
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....	73
8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej .....	76
8.4. <span style="background-color: black; color: black;">[REDACTED]</span> .....	76
<b>9. Spis tabel .....</b>	<b>77</b>
<b>10. Spis rysunków.....</b>	<b>81</b>

---

---

<b>11. Bibliografia.....</b>	<b>82</b>
------------------------------	-----------

---

## Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
ALK	ang. <i>anaplastic lymphoma kinase</i> - kinaza chłoniaka anaplastycznego
ADSK	ambulatoryjne świadczenia diagnostyczne kosztochłonne
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	analiza weryfikacyjna AOTMiT
BAT	ang. <i>best available technology</i> – najlepsza dostępna terapia
BSC	ang. <i>best supportive care</i> – najlepsze leczenie wspomagające, terapia paliatywna
CEM	cemiplimab
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
ECOG	ang. <i>Eastern Cooperative Oncology Group performance status</i> – skala sprawności według <i>Wschodniej Kooperatywnej Grupy Onkologicznej</i> pozwalająca określić stan ogólny oraz jakość życia chorego na chorobę nowotworową
EGFR	ang. <i>epidermal growth factor receptor</i> - receptor naskórkowego czynnika wzrostu
HHI	ang. <i>Hedgehog pathway inhibitor</i> – inhibitor szlaku Hedgehog
KRN	Krajowy Rejestr Nowotworów
laBCC	ang. <i>locally advanced basal cell carcinoma</i> - miejscowo zaawansowany rak podstawnocomórkowy skóry
laCSCC	ang. <i>locally advanced cutaneous squamous cell carcinoma</i> – miejscowo zaawansowany rak kolczystokomórkowy (płaskonabłonkowy) skóry
mBCC	ang. <i>metastatic basal cell carcinoma</i> - przerzutowy zaawansowany rak podstawnocomórkowy skóry
mCSCC	ang. <i>metastatic cutaneous squamous cell carcinoma</i> – przerzutowy rak kolczystokomórkowy (płaskonabłonkowy) skóry
MZ	Minister Zdrowia
n/d	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NSCLC	ang. <i>non-small cell lung cancer</i> – niedrobnokomórkowy rak płuca
OS	ang. <i>overall survival</i> – czas przeżycia całkowitego
PD-L1	ang. <i>programmed death-ligand 1</i> – ligand receptora programowanej śmierci 1
PFS	ang. <i>progression free survival</i> – czas przeżycia wolny od progresji choroby
PL	program lekowy
PLN	polski złoty
RDTL	Ratunkowy Dostęp do Technologii Lekowych
ROS1	ang. <i>receptor tyrosine kinase</i> - gen receptora kinazy tyrozynowej
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka
TD	ang. <i>treatment duration</i> – krzywa czasu leczenia
TTD	ang. <i>time to treatment discontinuation</i> – czas do zaprzestania leczenia
WIS	wismodegib

---

## Streszczenie

### CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku LIBTAYO® (cemiplimab, CEM) w leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnkomórkowym skóry, u których stwierdzono progresję choroby lub którzy wykazują nietolerancję na inhibitor szlaku Hedgehog.

Dokument składa się z analizy wpływu na budżet, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienia aspektów etycznych i społecznych.

### METODYKA

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią dorośli chorzy z miejscowo zaawansowanym rakiem lub przerzutowym rakiem podstawnkomórkowym skóry, u których stwierdzono progresję choroby lub którzy wykazują nietolerancję na inhibitor szlaku Hedgehog (HHI). Wskazana populacja chorych odznacza się wysokim obciążeniem chorobą oraz szczególnie niekorzystnym rokowaniem (zwłaszcza w przypadku chorych z przerzutową postacią raka podstawnkomórkowego). Chorzy z rakiem podstawnkomórkowym obarczeni są przewlekłym bólem o dużej intensywności, zwiększonym ryzykiem infekcji, ryzykiem utraty funkcjonalności tkanek oraz ograniczeniami w funkcjonowaniu znacząco wpływającymi na ich jakość życia. Aktualnie dla chorych w analizowanym wskazaniu po progresji terapii lub na skutek nietolerancji na inhibitor szlaku HHI nie ma żadnej alternatywnej opcji aktywnej terapii, która mogłaby wpłynąć na wydłużenie przeżycia dla chorych. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii.

[REDAKCYJNE BLOKI]

danych historycznych NFZ dotyczących refundacji wismodegibu [Sprawozdania NFZ] oraz publikacji dotyczącej leczenia wismodegibem - Sekulic 2017.

---

---

W analizie wpływu na budżet rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika.

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której cemiplimab nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego w analizowanym wskazaniu. W scenariuszu tym, w leczeniu miejscowego zaawansowanego raka lub przerzutowego podstawnocomórkowego raka skóry nie ma stosowanej żadnej aktywnej terapii, stosowane są jedynie najlepsze leczenie wspomagające i opieka paliatywna. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której cemiplimab stosowany u dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry po progresji choroby lub w przypadku nietolerancji na inhibitor szlaku Hedgehog, będzie finansowany ze środków publicznych. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej.

Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: kosztu leków, kosztu przepisania i podania leków, kosztów kwalifikacji chorych do programu lekowego, kosztów diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia, kosztów leczenia działań/zdarzeń niepożądanych, kosztów leczenia wspomagającego oraz kosztów leczenia paliatywnego.

W obliczeniach analizy uwzględniono też założenia proponowanej przez Podmiot odpowiedzialny umowy podziału ryzyka (RSS). Wydatki płatnika publicznego (i łączne wydatki płatnika publicznego i pacjentów) przedstawiono w związku z tym w dwóch wersjach: bez i z uwzględnieniem proponowanego przez Podmiot RSS.

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego (NFZ) i pacjenta) oraz z perspektywy płatnika publicznego. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy, uwzględniając, że 1. rok refundacji oraz 2. rok refundacji będą obejmowały 12 miesięcy w roku, ale 13 cykli uwzględnionych w modelowaniu, opartych na

---



wynikach modelowania ekonomicznego przedstawionego w *Analizie ekonomicznej*. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

## WYNIKI

### Oszacowanie populacji

[Redacted content]

### Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego

[Redacted content]

[Redacted text]

[Redacted text]

**Wydatki inkrementalne w perspektywie wspólnej**

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

---

## PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu cemiplimabu (LIBTAYO®) do leczenia w ramach programu lekowego.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem oraz z przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry, u których stwierdzono progresję lub wystąpiła nietolerancja na inhibitory szlaku Hedgehog. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy nie mogli stosować u chorych żadnej aktywnej terapii, mogąc zaoferować pacjentom jedynie leczenie wspomagające, czy opiekę paliatywną, teraz będą mogli im zaoferować terapię lekiem LIBTAYO®, która realnie może wpłynąć na czas wolny od progresji, wydłużyć życie chorych i polepszyć jakość ich życia.

██████████  
██████████  
██████████ W konsekwencji finansowanie leku LIBTAYO® zapewni dorosłym chorym z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. ██████████

Mając na uwadze racjonalizację środków w ochronie zdrowia oraz wychodząc naprzeciw oczekiwaniom Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Funduszu Zdrowia w zakresie refundacji leków, Zamawiający proponuje zawarcie umowy podziału ryzyka (RSS).

██████████  
██████████  
██████████  
██████████  
W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku LIBTAYO® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku LIBTAYO® przyczyni się do poprawy sytuacji chorych z nowotworami złośliwymi w Polsce, co jest jednym z priorytetów zdrowotnych

---

---

Ministerstwa Zdrowia (zgodnie z *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie priorytetów zdrowotnych*).

---

---

## 1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku LIBTAYO® (cemiplimab) w leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry, u których stwierdzono progresję lub wykazano nietolerancję na inhibitor Hedgehog. Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku LIBTAYO® w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń. Oszacowania analizy wpływu na budżet wraz z modelowaniem analizy ekonomicznej zostały uwzględnione w jednym arkuszu kalkulacyjnym.

## 2. Analiza wpływu na budżet

### 2.1. Metodyka analizy

1. Analizę wykonano w oparciu o *Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań, Wytyczne AOTMiT* oraz *Ustawę o refundacji*.
  2. Zdefiniowano populację docelową dla technologii wnioskowanej na podstawie odnalezionych źródeł danych [REDAKTOWANE] *Sekulic 2017* oraz *Sprawozdań NFZ*.
  3. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego bazując na danych historycznych ze *Sprawozdań NFZ* za lata 2017-2021.
  4. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
-

5. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz braku aktywnej terapii.
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
7. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
8. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera oznacza to dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji refundacyjnej.
9. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
10. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla oszacowania populacji docelowej oraz kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.

## 2.2. Horyzont czasowy

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań* oraz *Wytycznymi AOTMiT* horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi na rynku (tj. osiągnięcia docelowej stabilnej wielkości sprzedaży bądź liczby leczonych pacjentów) oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, że wnioskowana technologia byłaby finansowana w ramach *Programu lekowego*, który w sposób precyzyjny określa standard terapeutyczny oraz ogranicza stosowanie technologii medycznej do wybranych ośrodków kontraktujących program lekowy.

---

Dodatkowo, zgodnie z *Ustawą o refundacji*, pierwsza decyzja refundacyjna wydawana jest na 2 lata, co potwierdza zasadność przyjętego horyzontu czasowego analizy.

### 2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań*, dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy wpływu na budżet, analiza została przeprowadzona w dwóch wariantach:

- ⊗ z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny<sup>1</sup>)
- ⊗ oraz dodatkowo z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta).

### 2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz scenariusz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której technologia wnioskowana zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* nie jest refundowana w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego.

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem podstawnokomórkowym lub przerzutowym rakiem podstawnokomórkowym skóry, u których wykazano progresję lub którzy wykazują nietolerancję na inhibitor szlaku HHI. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w programie lekowym i wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w istniejącej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.1.).

Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata, wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.

---

<sup>1</sup> Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

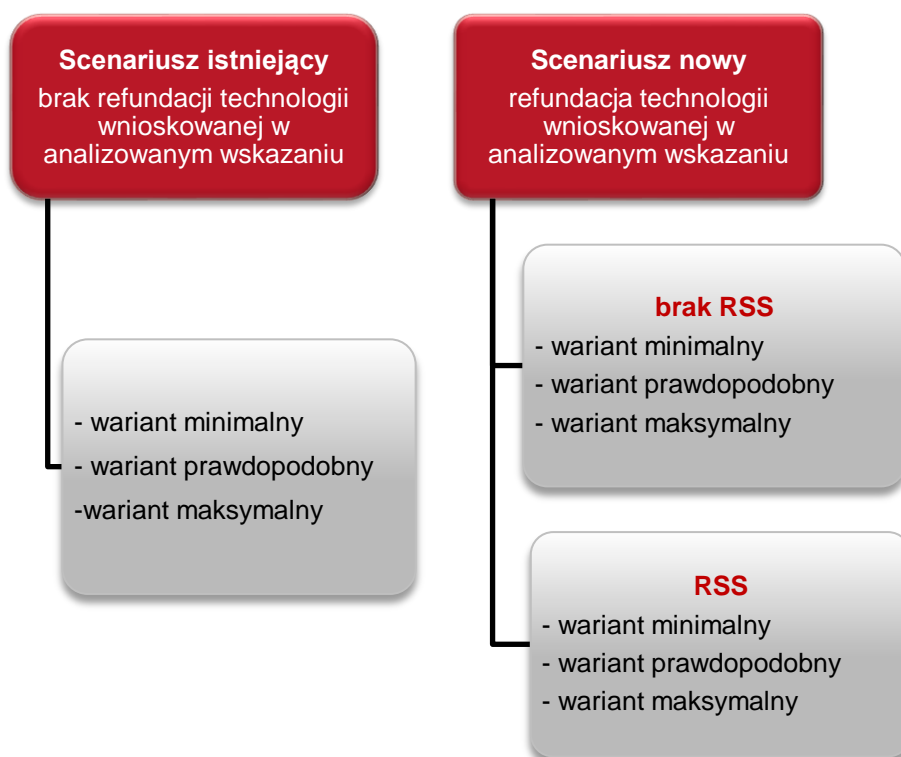
---

Wyniki analizy przedstawiono w dwóch wersjach: bez wprowadzenia instrumentów dzielenia ryzyka oraz po wprowadzeniu proponowanych instrumentów dzielenia ryzyka (RSS).

Analizowane scenariusze (istniejący, nowy), wersje (z RSS, bez RSS) oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

### Rysunek 1.

#### Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet



## 2.5. Populacja

### 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o Charakterystykę Produktu Leczniczego (ChPL) wnioskowanej technologii. Zgodnie z *ChPL LIBTAYO®*, cemiplimab jest wskazany w leczeniu:



- ⊕ dorosłych pacjentów z przerzutowym lub miejscowo zaawansowanym rakiem kolczystokomórkowym (płaskonabłonkowym) skóry (mCSCC, ang. *metastasic cutaneous squamous cell carcinoma* lub laCSCC, ang. *locally advanced cutaneous squamous cell carcinoma*), którzy nie kwalifikują się do radykalnego leczenia chirurgicznego lub radykalnej radioterapii;
- ⊕ dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry (ang. laBCC, *locally advanced basal cell carcinoma* lub mBCC, ang. *metastatic basal cel carcinoma*), u których stwierdzono progresję choroby lub którzy wykazują nietolerancję na inhibitor szlaku Hedgehog (HHI, ang. *hedgehog pathway inhibitor*);
- ⊕ monoterapia pierwszego rzutu w leczeniu dorosłych pacjentów z niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NSCLC, ang. *non-small cell lung cancer*) z ekspresją PD-L1 (ang. *programmed death ligand 1*, ligand receptora programowanej śmierci 1) w  $\geq 50\%$  komórek guza, bez mutacji EGFR (ang. *epidermal growth factor receptor*, receptor naskórkowego czynnika wzrostu), abberacji ALK (ang. *anaplastic lymphoma kinase*, kinaza chłoniaka anaplastycznego) lub ROS1 (ang. *receptor tyrosine kinase*, gen receptora kinazy tyrozynowej), u których występuje:
  - miejscowo zaawansowany NSCLC i którzy nie kwalifikują się do radykalnej chemioradioterapii lub
  - przerzutowy NSCLC.

Zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* lek LIBTAYO® jest refundowany w leczeniu dorosłych chorych na raka kolczystokomórkowego skóry z przerzutami lub w stadium miejscowo-zaawansowanym przy braku kwalifikacji do radykalnego leczenia chirurgicznego lub radykalnej radioterapii w ramach programu lekowego B.125 *Leczenie chorych na zaawansowanego raka kolczystokomórkowego skóry cemiplimabem*.

Poniżej przedstawiono opis oszacowania liczebności populacji badanej dla wnioskowanej technologii medycznej.

### **Rak kolczystokomórkowy skóry (CSCC)**

Zgodnie z oszacowaniami *Wnioskodawcy*, który wnioskował wcześniej o refundację leku LIBTAYO® w leczeniu raka kolczystokomórkowego skóry w ramach programu lekowego B.125, analizowanych chorych [REDACTED] Lek jest refundowany w ramach wspomnianego programu B.125 *Leczenie chorych na*

zaawansowanego raka kolczystokomórkowego skóry cemiplimabem od listopada 2021 r., obecnie nie ma jeszcze dostępnych danych refundacyjnych wskazujących na liczbę leczonych chorych.

### Niedrobnokomórkowy rak płuca (NSCLC)

Zachorowalność na raka płuc wynosi w Polsce około 103 mężczyzn na 100 000 osób oraz 28,6 kobiet na 100 000 osób [Ferlay 2007]. Uwzględniając Dane GUS takich chorych może być więc ok. 25 178. Biorąc pod uwagę dane z KRN z 2019 r. (Krajowy Rejestr Nowotworów), chorych rocznie diagnozowanych z nowotworem złośliwym oskrzeli i płuc (ICD-10 c. 34) może być ok. 22 271, czyli uwzględnione wartości są do siebie zbliżone [KRN Statystyki 2019].

Według danych z raportu KRN dotyczącego stopni zaawansowania, leczenia oraz przeżycia chorych na raka płuca w latach 2014-2016 około 83% ze wszystkich chorych z rakiem płuca stanowią chorzy z niedrobnokomórkowym rakiem płuca [KRN Raport 2019]. Uwzględniając dane z KRN dotyczące zachorowalności [KRN Statystyki 2019] wykorzystanie wskazanego odsetka prowadzi do określenia liczebności chorych na poziomie ok. 18 485. Na podstawie tych samych danych określających stopień zaawansowania zmian (przedstawionych liczebności chorych pacjentów z przypisanym stadium<sup>2</sup>) określono odsetki chorych z NSCLC w stadium miejscowo zaawansowanym (III stopień) lub uogólnionym, przerzutowym (IV stopień) i przedstawiono je w poniższej tabeli.

**Tabela 1.**  
**Określenia liczebności pacjentów z podziałem na stopień zaawansowania NSCLC na podstawie raportu *KRN Raport 2016***

Stadium zaawansowania	Liczba pacjentów	Odsetek
I-II stopień	10 459	19,4%
III stopień	16 318	30,3%
IV stopień	27 026	50,2%
Razem	53 803	100%

Po uwzględnieniu odsetków dla określonych stopni zaawansowania można stwierdzić, że chorych z mNSCLC powinno być ok. 9 285 a chorych z laNSCLC ok. 5 606.

<sup>2</sup> Pominięto chorych bez określonego stadium w trakcie rozpoznania

[Redacted text block]

[Redacted text block]

**Podstawnokomórkowy rak skóry (BCC)**

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

### **Podsumowanie**

Na podstawie przedstawionych wyżej informacji oszacowano przybliżoną liczebność populacji, w której mogłaby zostać zastosowana technologia wnioskowana. Przy czym większość rozważanych danych stanowią dane epidemiologiczne, bez dokładnych informacji z polskich warunków klinicznych, więc uwzględnione na ich podstawie oszacowania charakteryzować się mogą niepewnością.

W tabeli poniżej przedstawiono zestawienie oszacowania liczebności populacji badanej dla wnioskowanej technologii medycznej.

**Tabela 3.**  
**Liczba chorych stanowiąca populację chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana**

Wskazanie	Liczba chorych	Źródło
Rak kolczystokomórkowy skóry (laCSCC lub mCSCC)	[REDACTED]	Dane od Wnioskodawcy
Niedrobnokomórkowy rak płuca (laNSCLC lub mNSCLC)		KRN Statystyki 2019, KRN Raport 2019, BIA Opdivo 2020, BIA Keytruda 2018, Dietel 2019, Raport jednoczasowej radiochemioterapii u chorych na NSCLC 2021
Rak podstawnocomórkowy skóry (laBCC lub mBCC)		Dane GUS, AWA Erivedge 2015, Goldenberg 2016, Becquart 2018, Sekulic 2017
Razem		Jak wyżej

Uwzględniając liczebność populacji chorych na CSCC, NSCLC oraz BCC, oszacowano, że liczebność populacji, w której wnioskowana technologia może zostać zastosowana w Polsce, wynosi maksymalnie ok [REDACTED] chorych.

## 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

[REDACTED]

### 2.5.2.1. Chorzy leczeni inhibitorem HHI

W warunkach polskiej praktyki klinicznej chorzy na raka podstawnocomórkowego mają możliwość leczenia jednym inhibitorem HHI, tj. wismodegibem (WIS) w ramach Programu lekowego B.88. Na podstawie Sprawozdań NFZ określono liczebności populacji dla kolejnych

lat refundacji – 2017 – 2021 r. w ramach wspomnianego programu (Tabela 4.). Wykonano również prognozę liczebności chorych leczonych w programie dla kolejnych lat oraz horyzontu czasowego analizy.

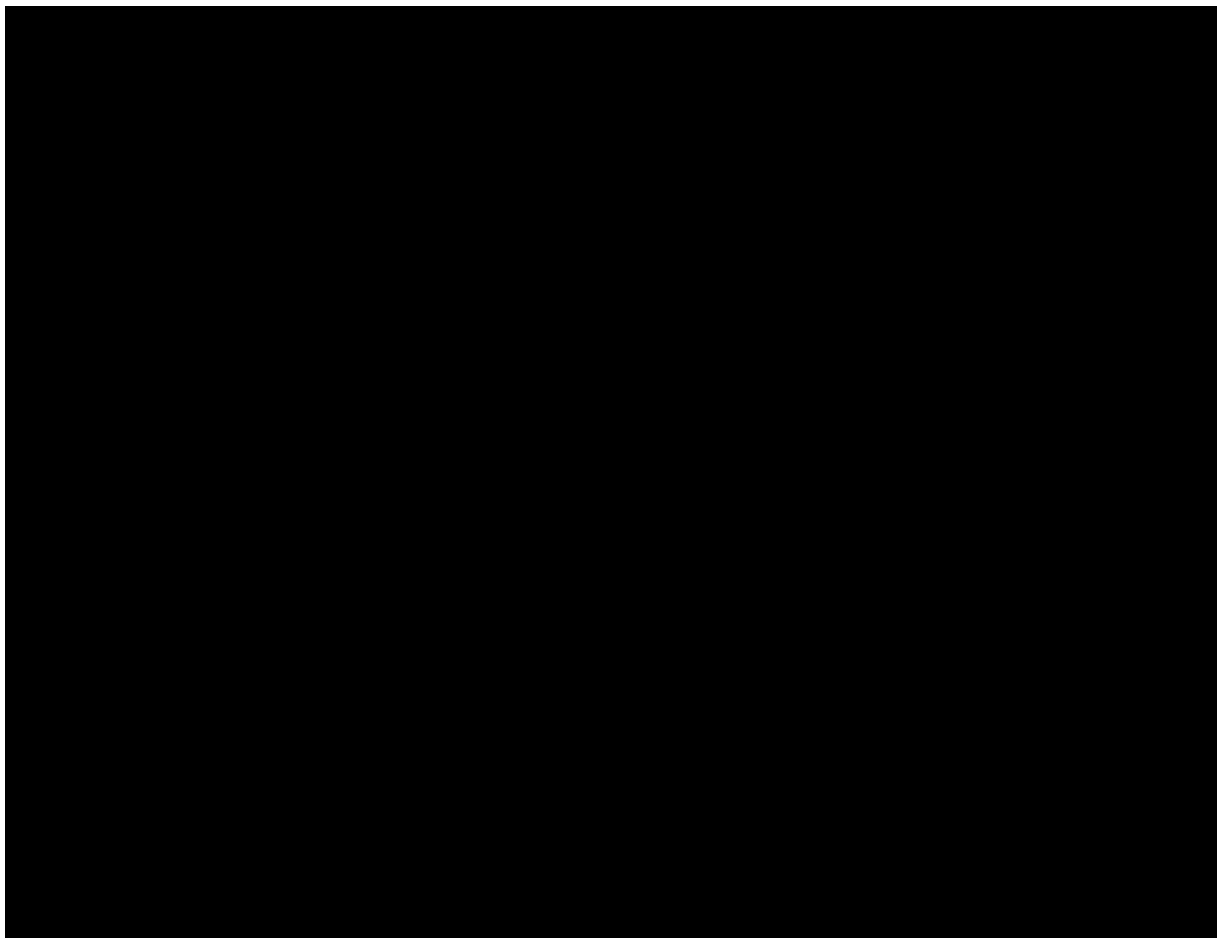
**Tabela 4.**  
**Dane historyczne dotyczące leczenia wismodegibem w ramach Programu lekowego B.88**

Program lekowy B.88	Dane ze Sprawozdań NFZ					
	2016 r.	2017 r.	2018 r.	2019 r.	2020 r.	2021 r.
Chorzy leczeni WIS	0	29	78	81	131	153

W celu wyboru trendu analizowano dopasowanie liniowe, logarytmiczne oraz potęgowe. Do analizy podstawowej wybrano trend z najlepszym dopasowaniem (biorąc pod uwagę współczynnik dopasowania  $R^2$ ), a pozostałe trendy uwzględniono w analizie wrażliwości.

Na poniższym rysunku przedstawiono dopasowane trendy, a w poniższej tabeli przedstawiono prognozowane liczebności chorych wykorzystane w analizie.

**Rysunek 2.**  
**Warianty prognozy liczby chorych leczonych wismodegibem w ramach PL B.88**



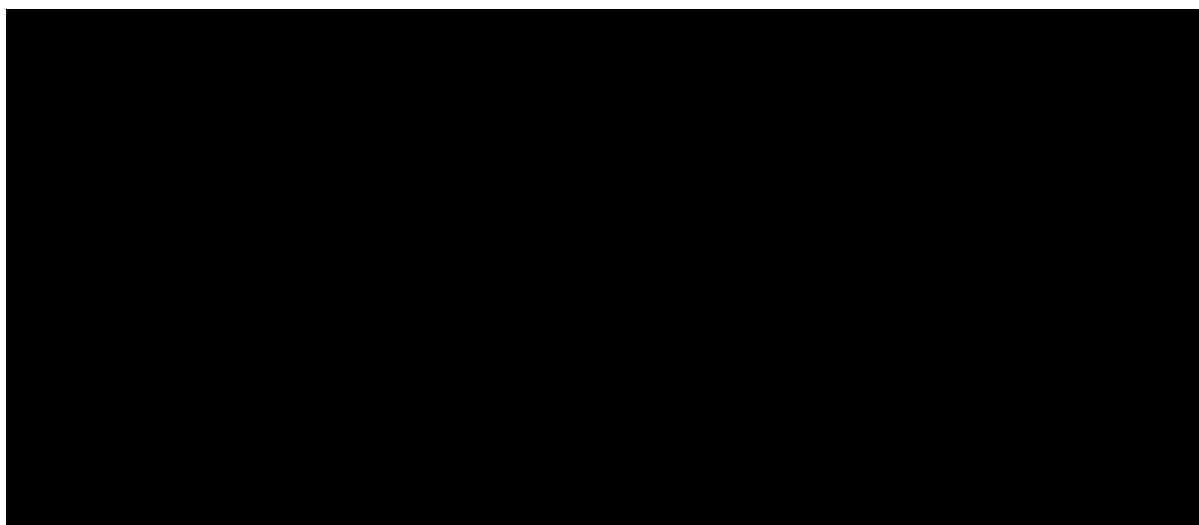
**Tabela 5.**  
**Dane prognozowane dotyczące leczenia wismodegibem w ramach Programu lekowego B.88**

Program lekowy B.88	Prognoza		
	2022 r.	2023 r.	2024 r.
Analiza podstawowa			
Chorzy leczeni WIS			
Analiza wrażliwości (trend potęgowy)			
Chorzy leczeni WIS			
Analiza wrażliwości (trend logarytmiczny)			
Chorzy leczeni WIS			

### 2.5.2.2. Zapisy programu lekowego

Zgodnie z przedkładanym wnioskiem, chorzy kwalifikujący się do leczenia cemiplimabem oprócz rozpoznania BCC oraz progresji choroby w trakcie terapii inhibitorem szlaku Hedgehog lub nietolerancji na inhibitor HHI powinni spełniać kryteria uwzględnione w zapisach projektu programu lekowego leczenia BCC cemiplimabem.

Zgodnie z zebranymi kryteriami, do terapii cemiplimabem kwalifikowani będą dorośli chorzy [REDACTED] [REDACTED] rozpoznaniem raka podstawnocomórkowego skóry (z przerzutami odległymi lub miejscowo zaawansowanego raka podstawnocomórkowego), u których:



Dokładna charakterystyka kryteriów włączenia została przedstawiona w załączonym do wniosku projekcie *Programu lekowego*. W celu dokładnego oszacowania populacji biorąc pod uwagę wyżej wymienione kryteria uwzględniono dane [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

---

<sup>3</sup> 27,9% zakończyło leczenie z powodu progresji, 21,2% z powodu działań niepożądanych



[Redacted text block]

**Tabela 6.**  
**Liczebność chorych z niepowodzeniem terapii HHI w kolejnych latach analizy (analiza podstawowa)**

Grupa chorych	1. rok	2. rok
Chorzy leczeni WIS	[Redacted]	[Redacted]
Z niepowodzeniem terapii WIS	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Wskazane powyżej średnie odsetki dotyczące kwalifikacji wykorzystano do oszacowania populacji mogącej rozpocząć leczenie cemiplimabem (populacji docelowej). Wartości skrajne obu wskazanych powyżej odsetków wykorzystano do oszacowania wariantów minimalnego oraz maksymalnego populacji docelowej.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted content]

### 2.5.2.3. Podsumowanie populacji docelowej

Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie (populacja docelowa) obejmuje chorych kwalifikujących się do leczenia cemiplimabem w dwóch kolejnych lata rozpatrywanego horyzontu analizy.

Estymowaną liczebność populacji docelowej przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 7.**  
**Populacja docelowa, wartości roczne liczebności nowych chorych kwalifikujących się do leczenia cemiplimabem, wskazane we wniosku**

Wariant oszacowania	1. rok	2. rok
Minimalny	[Redacted]	[Redacted]
Prawdopodobny	[Redacted]	[Redacted]
Maksymalny	[Redacted]	[Redacted]

### **2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana**

Obecnie w Polsce cemiplimab refundowany jest w leczeniu dorosłych chorych na raka kolczystokomórkowego skóry z przerzutami lub w stadium miejscowo-zaawansowanym, przy braku kwalifikacji do radykalnego leczenia chirurgicznego lub radykalnej radioterapii w ramach programu lekowego B.125 *Leczenie chorych na zaawansowanego raka kolczystokomórkowego skóry cemiplimabem*.

Ze względu na fakt, że refundacja cemiplimabu w opisywanym wskazaniu rozpoczęła się w listopadzie 2021, nie ma jeszcze dostępnych publicznie danych związanych z wielkością refundacji, a co za tym idzie też z populacją, w której technologia jest stosowana.

[Redacted text block]

### **2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją**

Populację, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, oszacowano na podstawie prognozowanych udziałów, jakie lek *LIBTAYO*® osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

#### **2.5.4.1. Udziały w rynku**

[Redacted text block]

Oszacowanie udziałów w rynku przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 8.**  
**Udziały w rynku w analizie podstawowej**

Wariant oszacowania	1. rok	2. rok
Scenariusz istniejący		
CEM		
BAT		
Scenariusz nowy		
CEM		
BAT		

**Tabela 9.**  
**Udziały w rynku w analizie wrażliwości**

Wariant oszacowania	1. rok	2. rok
Scenariusz istniejący		
CEM		
BAT		
Scenariusz nowy		
CEM		
BAT		

<sup>5</sup> W modelu BAT nazywane jest zamiennie z BSC – (ang. best supportive care, najlepsze leczenie wspomagające, terapia paliatywna)

### 2.5.4.2. Oszacowanie wielkości populacji chorych leczonych technologią wnioskowaną

Uwzględniając udziały w rynku (rozdział 2.5.4.1.) oraz wielkość populacji docelowej (rozdział 2.5.2.) oszacowano liczbę chorych leczonych technologią wnioskowaną.

Tabela 10.

[Redacted]		
[Redacted]		
[Redacted]		

Wariant oszacowania	1. rok	2. rok
Minimalny	[Redacted]	[Redacted]
Prawdopodobny	[Redacted]	[Redacted]
Maksymalny	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted]		
[Redacted]		
[Redacted]		
[Redacted]		
[Redacted]		
[Redacted]		
[Redacted]		
[Redacted]		

[Redacted]		
[Redacted]		

### 2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji cemiplimabu w analizowanym wskazaniu, lek będzie nadal stosowany u dorosłych chorych z rakiem kolczystokomórkowym skóry z przerzutami lub w stadium miejscowo-zaawansowanym nieresekcyjnym, przy braku kwalifikacji do radykalnego leczenia chirurgicznego lub radykalnej radioterapii w ramach programu lekowego B. 125 *Leczenie chorych na zaawansowanego raka kolczystokomórkowego skóry cemiplimabem.*

W rozdziale dotyczącym populacji docelowej (rozdział 2.5.2) oraz populacji chorych, u których technologia wnioskowana jest aktualnie stosowana (rozdział 2.5.3) [REDACTED]

Patrząc na prognozowaną liczbę chorych leczonych w ramach programu lekowego B.125 zgodnie z *Danymi od Wnioskodawcy*, można oczekiwać, że [REDACTED] (zgodnie z oszacowaniami przedstawionymi w rozdziale 2.5.1).

### 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach

W tabeli poniżej przedstawiono wartości oszacowań populacyjnych wykonanych w niniejszej analizie wpływu na system ochrony zdrowia (opisanych w rozdziałach 2.5.1. – 2.5.5.).

**Tabela 11.**

**Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań***

Populacja	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	Podstawa prawna
Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	[REDACTED]	art. 6 ust. 1pkt 1 lit. a
Populacja docelowa, wskazana we wniosku	[REDACTED]	art. 6 ust. 1pkt 1 lit. b
Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	[REDACTED]	art. 6 ust. 1pkt 1 lit. c
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	[REDACTED]	art. 6 ust. 1pkt 2
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	[REDACTED]	art. 6 ust. 1pkt 4

---

## 2.6. Analiza kosztów

Kategorie kosztów zaczerpnięto z *Analizy ekonomicznej*. Wpływ na wynik końcowy, a więc na wartość wydatków inkrementalnych płatnika publicznego, mają całkowite koszty różniące. Całkowite koszty różniące zdefiniowano jako koszty występujące w ramach jednego ze scenariuszy, a więc różniące oceniane technologie medyczne.

W analizie z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztów bezpośrednich medycznych:

- ⊗ koszty leków;
- ⊗ koszty przepisania i podania leków;
- ⊗ koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego;
- ⊗ koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia;
- ⊗ koszty leczenia działań/zdarzeń niepożądanych;
- ⊗ koszty leczenia wspomagającego (leczenie rany, leczenia przeciwbólowe oraz opieka psychologiczna<sup>6</sup>);
- ⊗ koszty leczenia paliatywnego (radioterapia paliatywna oraz opieka paliatywna).

Ponieważ poszczególne kategorie kosztowe zostały scharakteryzowane i skalkulowane w ramach *Analizy ekonomicznej* w analizie wpływu na system ochrony zdrowia zaprezentowano jedynie koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz modelowanie i podsumowanie kosztów.

### 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej

Do obliczenia kosztu stosowania wnioskowanej technologii medycznej konieczne było określenie zużycia zasobów (dawkowania) oraz cen jednostkowych leków.

#### 2.6.1.1. Dawkowanie

Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego LIBTAYO®* i projektu *Programu lekowego Leczenie chorych na zaawansowanego raka podstawnocomórkowego skóry* określono, że w

---

<sup>6</sup> Opiekę psychologiczną uwzględniono jedynie w analizie wrażliwości

---



leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry, u których stwierdzono progresję choroby lub którzy wykazują nietolerancję na inhibitor szlaku Hedgehog cemiplimab podawany jest w dawce 350 mg co 3 tygodnie we wlewie dożylnym przez 30 minut. Dawka ta była również stosowana u chorych w badaniach odnalezionych w ramach przeglądu systematycznego *Analizy klinicznej*.

### 2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji

Obecnie lek nie jest finansowany w analizowanym wskazaniu. W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1. Dostępna jest jedynie jedna prezentacja leku zawierająca 1 fiolkę leku (350 mg/7 ml), która stanowi podstawę limitu w grupie.

[Dane od Wnioskodawcy]. Zgodnie z zapisami *Ustawy o refundacji* wyznaczono urzędową cenę zbytu, cenę hurtową brutto oraz limit finansowania leku.

Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela (Tabela 12.).

**Tabela 12.**  
**Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN)**

Prezentacja	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Limit finansowania
LIBTAYO®, 350 mg, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 1 fiolka				

W oparciu o dawkowanie, ceny leków oraz proponowane warunki RSS wyznaczono koszt jednostkowy leków w przeliczeniu na opakowanie oraz roczny koszt pełnej terapii (Tabela 13.). Wskazany roczny koszt terapii ma charakter wyłącznie informacyjny, gdyż koszty leczenia

technologią wnioskowaną modelowane są w oparciu o krzywą dyskontynuacji opisaną w poniższym rozdziale oraz *Analizie ekonomicznej*.

**Tabela 13.**  
**Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN)**

Substancja	Koszt opakowania		Koszt roczny	
	Perspektywa płatnika publicznego	Perspektywa wspólna	Perspektywa płatnika publicznego	Perspektywa wspólna
Cemiplimab bez RSS				
Cemiplimab z RSS				

### 2.6.1.3. Modelowanie kosztu leczenia wnioskowaną technologią

W niniejszym modelowaniu koszty terapii dla interwencji oraz komparatora oparto na danych zaczerpniętych z modelowania ekonomicznego. [REDACTED]

[REDACTED]. Wszystkie koszty zaczerpnięte z modelowania ekonomicznego do niniejszej analizy uwzględniają korektę połowy cyklu oraz brak dyskonta<sup>7</sup>.

[REDACTED]

### 2.6.2. Koszt przepisania i podania wnioskowanej technologii medycznej

Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego LIBTAYO®* stwierdzono, że cemiplimab podawany jest poprzez wlew dożylny trwający 30 min. Ze względu na fakt, że podanie dożylnie

<sup>7</sup> Nie ma to wpływu na modelowanie ekonomiczne, w którym wyniki przedstawione są z uwzględnieniem korekty cyklu oraz dyskonta

wlewu wymaga większego zaangażowania personelu medycznego, każde podanie leku co 3 tygodnie wiąże się z wizytą u lekarza i kosztem podania leku. W związku z tym koszt podania wyznaczono na podstawie *Zarządzenia leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe*. W tabeli poniżej przedstawiono koszt jednostkowy świadczenia, które zostało przyjęte jako koszt podania leku (przy wycenie punktu równej 1 PLN).

**Tabela 14.**  
**Koszt jednostkowy podania leku**

Kod produktu	Nazwa produktu rozliczeniowego	Wartość punktowa / Koszt (PLN)
5.08.07.0000001	hospitalizacja związana z wykonaniem programu	486,72

### 2.6.3. Modelowanie kosztów

Jak wspomniano w powyższym rozdziale dotyczącym modelowania kosztów stosowania wnioskowanej technologii (2.6.1.3). [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Koszty w niniejszym opracowaniu uwzględniają koszty modelowania ekonomicznego, przy ograniczeniu do 2-letniego horyzontu analizy wpływu na budżet (z uwzględnieniem braku dyskonta).

[REDACTED]

<sup>8</sup> W arkuszu kalkulacyjnym zapisywane jako McKesson data (2L non-initiators n=15) lub Golozar 2021 (2L non-initiators n=15)

[Redacted text block]

**Tabela 15.**

[Redacted text]

[Redacted text]

Cykl w modelu BIA	udział	koszt w 1. roku terapii	koszt w 2. roku terapii
1	7,69%		
2	7,69%		
3	7,69%		
4	7,69%		
5	7,69%		
6	7,69%		
7	7,69%		
8	7,69%		
9	7,69%		
10	7,69%		
11	7,69%		
12	7,69%		
13	7,69%		

[Redacted text]

[Redacted text]

Analogiczne naliczane kosztów będzie funkcjonowało w ramieniu BAT [Redacted text]

[Redacted text]

**Tabela 16.**

Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1. roku BIA	wydatek w 2. roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim
1. rok			
2. rok			

**Tabela 17.**

Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim
1. rok			
2. rok			

**Tabela 18.**

Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim
1. rok			
2. rok			

## 2.6.4. Podsumowanie kosztów

Koszty całkowite różniące poszczególne terapie, z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej dla obu wersji: z uwzględnieniem RSS oraz bez uwzględnienia RSS, zaprezentowano w tabeli poniżej. Koszty zostały zaczerpnięte z *Analizy ekonomicznej*. Należy wziąć pod uwagę orientacyjny charakter poniższych wartości,



Tabela 19.

Kategoria kosztowa	CEM	BAT
Perspektywa płatnika publicznego		
Różniący koszt porównywanych technologii medycznych* z RSS		
Różniący koszt porównywanych technologii medycznych* bez RSS		
Różniący koszt podania leków*		
Różniący koszt kwalifikacji chorych do programu lekowego <sup>^</sup>		
Różniący koszt diagnostyki, monitorowania oraz weryfikacji skuteczności leczenia		
Różniący koszt leczenia działań/zdarzeń niepożądanych <sup>^</sup>		
Różniący koszt leczenia wspomagającego (koszt leczenia ran oraz terapii przeciwbólowej)		
Różniący koszt leczenia wspomagającego (jednorazowy koszt kompleksowego leczenia ran) <sup>^</sup>		
Różniący koszt leczenia paliatywnego <sup>^**</sup>		
Perspektywa wspólna		
Różniący koszt porównywanych technologii medycznych* z RSS		
Różniący koszt porównywanych technologii medycznych* bez RSS		
Różniący koszt podania leków*		

Kategoria kosztowa	CEM	BAT
Różniący koszt kwalifikacji chorych do programu lekowego <sup>^</sup>		
Różniący koszt diagnostyki, monitorowania oraz weryfikacji skuteczności leczenia		
Różniący koszt leczenia działań/zdarzeń niepożądanych <sup>^</sup>		
Różniący koszt leczenia wspomagającego (koszt leczenia ran oraz terapii przeciwbólowej)		
Różniący koszt leczenia wspomagającego (jednorazowy koszt kompleksowego leczenia ran) <sup>^</sup>		
Różniący koszt leczenia paliatywnego <sup>^**</sup>		

\*Dla koszt leku przy jednym podaniu (raz na 3 tygodnie)

<sup>^</sup>Koszt jednorazowy

<sup>\*\*</sup>Uwzględnia koszt radioterapii paliatywnej oraz opieki paliatywnej i hospicyjnej

## 2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.



**Tabela 20.**  
**Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet**

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)		Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
<b>Parametry analizy wpływu na budżet</b>					
Horyzont czasowy analizy	2 lata	n/d	n/d	n/d	Rozdział 2.2
Odsetek niepowodzenia terapii HHI	49,1%	min	25,0%	Uwzględnienie alternatywnych odsetków niepowodzenia terapii na podstawie źródeł literaturowych	Słowińska 2022, Sekulic 2017, Bassompierre 2018
		max	56,5%		
Odsetek chorych nieoperacyjnych po progresji lub niepowodzeniu terapii HHI	[redacted]	min	[redacted]	Uwzględnienie wartości minimalnych oraz maksymalnych wedle wskazań ekspertów klinicznych	[redacted]
		max	[redacted]		
Odsetek chorych immunokompetentnych, po progresji lub niepowodzeniu terapii HHI, którzy nie spełniają kryterium immunokompetentności	[redacted]	min	[redacted]	Uwzględnienie wartości minimalnych oraz maksymalnych wedle wskazań ekspertów klinicznych	
		max	[redacted]	Uwzględnienie alternatywnych odsetków niepowodzenia terapii na podstawie źródeł literaturowych	
Liczebność populacji docelowej	Rozdział 2.5.2.,	Rozdział 2.5.2.	Rozdział 2.5.2.	n/d	
Udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych	Rozdział 2.5.4.1.	Rozdział 2.5.4.1.	Rozdział 2.5.4.1.	Uwzględnienie alternatywnego źródła dla udziałów rozważanych technologii na podstawie udziałów dla wcześniejszej linii leczenia	
<b>Parametry kosztowe</b>					
Cena zbytu netto LIBTAYO® (PLN)	[redacted]	n/d	n/d	n/d	Dane od Wnioskodawcy
RSS - Obniżona cena hurtowa (PLN)	[redacted]	n/d	n/d	n/d	Dane od Wnioskodawcy

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)		Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
Koszt podania leku	486,72	min	108,16	Uwzględnienie alternatywnej wyceny kosztu na podania - koszt dla porady ambulatoryjnej	Zarządzenie programy lekowe
Pozostałe koszty oraz zasoby	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>
<b>Pozostałe parametry analizy ekonomicznej</b>					
Parametry dotyczące skuteczności, prawdopodobieństw przejść w modelu oraz śmiertelności	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>

---

## 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

[REDACTED]

### 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano biorąc pod uwagę liczebność populacji docelowej właściwej dla 2022 roku [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] W celu oszacowania aktualnych wydatków budżetowych uwzględniono koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą około [REDACTED] PLN w 2022 roku.

Obecnie cemiplimab nie jest stosowany w analizowanej populacji chorych. Koszt leku jest zatem zerowy.

### 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego i wspólnej. Dodatkowo wyniki przedstawiono z uwzględnieniem lub nie instrumentów dzielenia ryzyka (wersja z RSS, wersja bez RSS) oraz w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

---

**Tabela 21.**  
**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS**

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
Całkowite koszty różniące*						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						
Koszt cemiplimabu (LIBTAYO®)						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

**Tabela 22.**  
**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS**

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
Całkowite koszty różniące*						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						
Koszt cemiplimabu (LIBTAYO®)						
minimalny						
prawdopodobny						

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
maksymalny						

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

**Tabela 23.**  
**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS**

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
Całkowite koszty różniące*						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						
Koszt cemiplimabu (LIBTAYO®)						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

**Tabela 24.**  
**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS**

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
Całkowite koszty różniące*						
minimalny						
prawdopodobny						

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
maksymalny						
Koszt cemiplimabu (LIBTAYO®)						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						

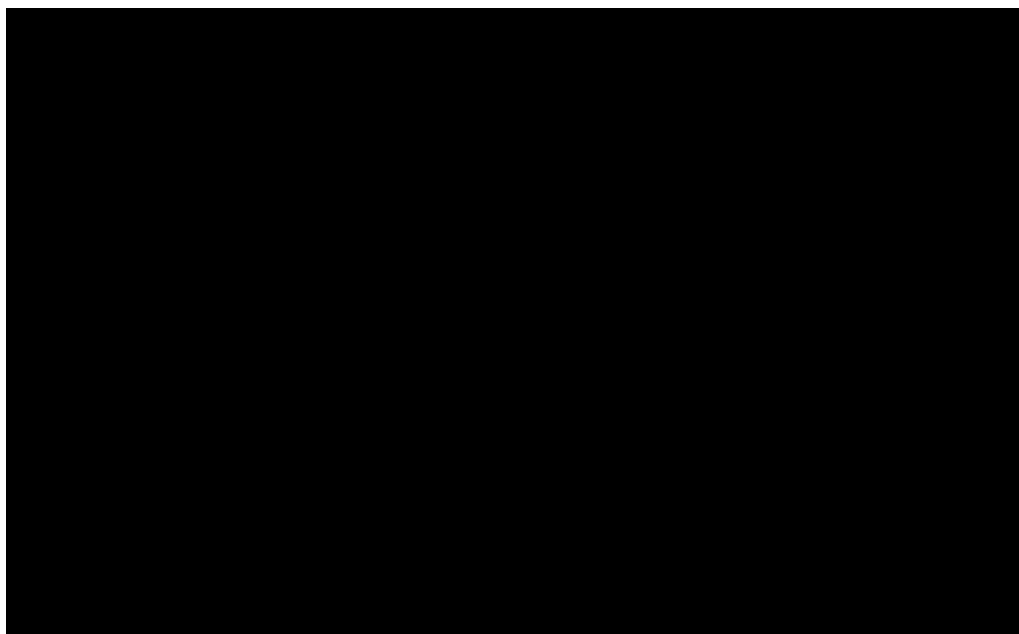
\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

---

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono również graficznie na poniższym wykresie.

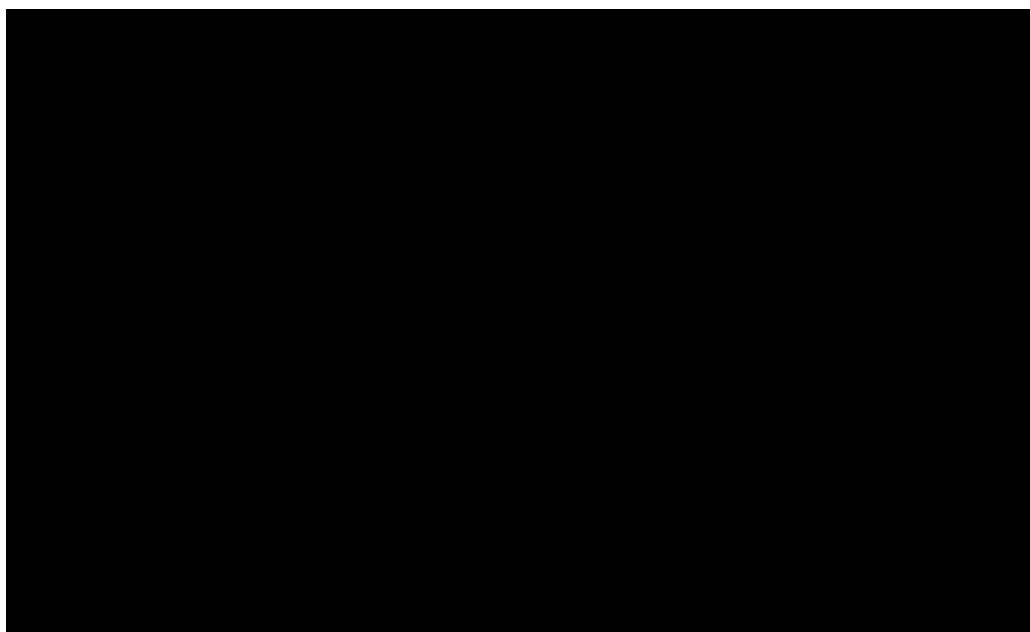
**Rysunek 3.**

**Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego w wersji z RSS (PLN)**



**Rysunek 4.**

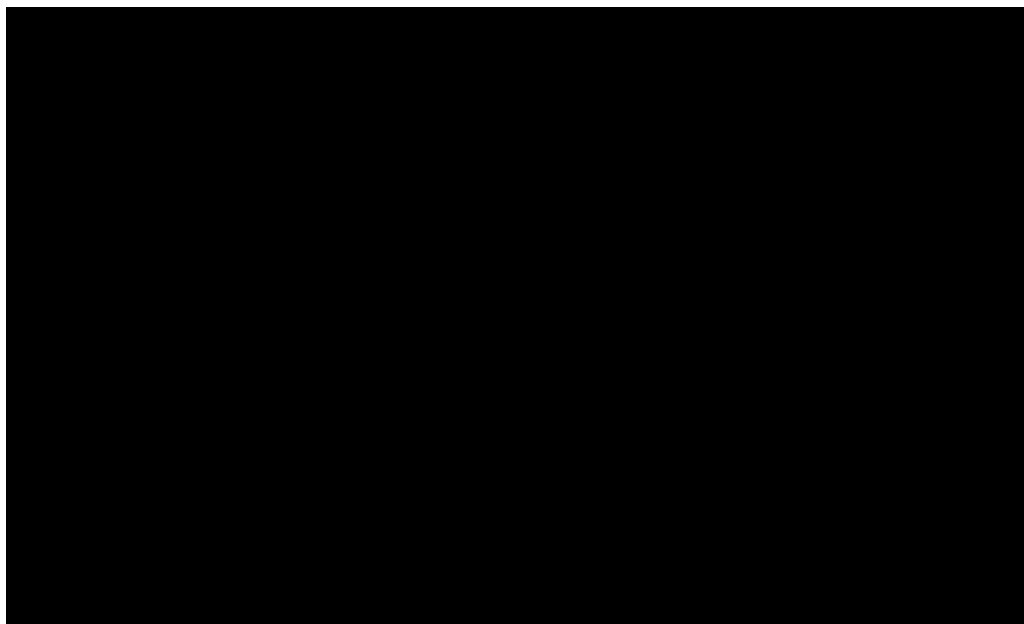
**Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego w wersji bez RSS (PLN)**



---

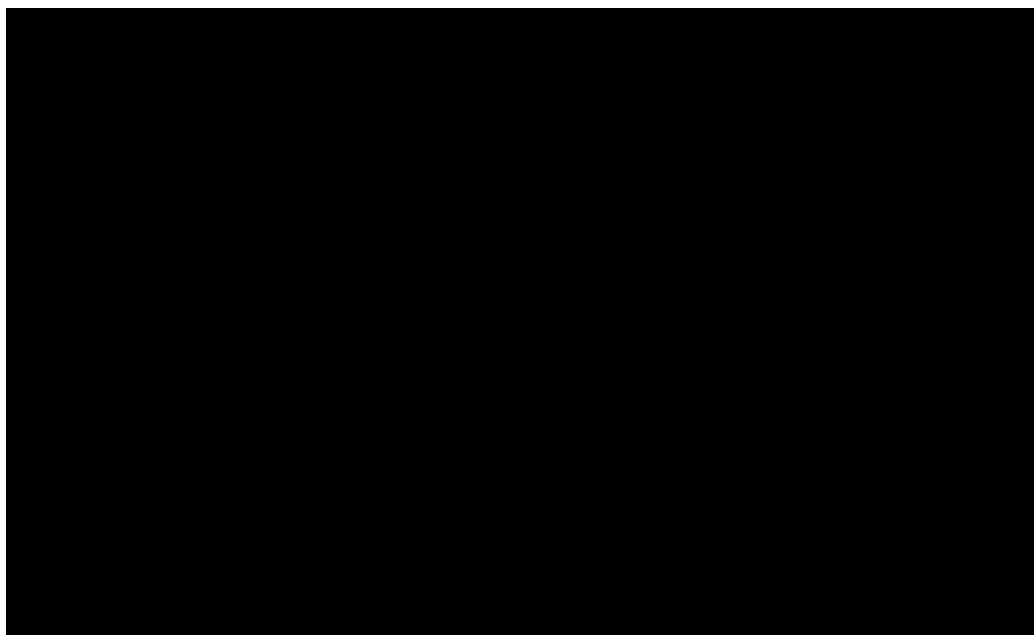
**Rysunek 5.**

**Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej w wersji z RSS (PLN)**



**Rysunek 6.**

**Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej w wersji bez RSS (PLN)**





---

### 3. Analiza wrażliwości

Analizę wrażliwości przeprowadzono dla parametrów, które w największym stopniu obarczone są niepewnością i mają potencjalnie największy wpływ na wyniki. Dla parametrów tych przeprowadzono analizę wartości skrajnych (ang. *extreme value analysis*), która ocenia wpływ na wyniki analizy przyjęcia przez te parametry wartości ekstremalnych.



Testowane parametry oraz scenariusze wraz z ich szczegółowym zakresem i uzasadnieniem przedstawiono w Rozdziale 2.7. lub w *Analizie ekonomicznej* (jeśli dotyczyły jedynie aspektów modelowania ekonomicznego, które mają wpływ na wyniki niniejszej analizy).

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższej tabeli.

Podkreślić należy, że przy zmianie każdego parametru wnioskowanie z analizy nie ulega zmianie.

---

**Tabela 25.**  
**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji z RSS**

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

**Tabela 26.**

**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji bez RSS**

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok



Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

**Tabela 27.**

**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji z RSS**

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

**Tabela 28.**  
Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji bez RSS

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna, alternatywna)	Wynik inkrementalny (PLN)		Zmiana procentowa wyniku	
			1 rok	2 rok	1 rok	2 rok



---

## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu LIBTAYO® (cemiplimab) w leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry, u których wystąpiła progresja lub nietolerancja na terapię inhibitorem HHI w ramach programu lekowego może wpłynąć na zwiększenia liczby oraz charakteru realizowanych świadczeń. W porównaniu z aktualnie dostępną dla analizowanej grupy chorych alternatywą, tj. brakiem aktywnej terapii i oparciem procesu terapeutycznego na metodach objawowego leczenia wspomagającego i leczenia paliatywnego, terapia cemiplimabem będzie wiązać się zarówno z wykonywaniem dodatkowych świadczeń specjalistycznych w ramach podania leku (podanie dożylnie), jak i częstszych świadczeń specjalistycznych (w tym także z grupy ADSK) w celu monitorowania skuteczności i bezpieczeństwa podawanego leku.

W wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi jednak konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku, gdyż wprowadzenie refundacji leku wpłynie głównie na zmianę częstotliwości wykonywanych świadczeń. Zwiększenie częstości wykonywanych świadczeń specjalistycznych może jednak łączyć z większym zaangażowaniem personelu. Konkludując, objęcie refundacją technologii wnioskowanej może mieć wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

## 5. Aspekty etyczne i społeczne

Wnioskowana populacja chorych odznacza się niekorzystnym rokowaniem. Istnieje duża niezaspokojona potrzeba społeczna na wprowadzenie skutecznej terapii. Dla chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnocomórkowym skóry po progresji choroby lub nietolerancji inhibitora HHI nie ma żadnej dostępnej aktywnej opcji leczenia. Chorzy mogą korzystać jedynie z leczenia wspomagającego oraz leczenia paliatywnego. Istnieje bardzo duża niezaspokojona potrzeba na wprowadzenie terapii, która wydłuży życie chorych (zwłaszcza w przypadku przerzutowej postaci choroby), jak i polepszy jakość życia pacjentów w analizowanym wskazaniu.

Chorzy z rakiem podstawnocomórkowym skóry doświadczają wysokiego obciążenia chorobą. W przypadku przerzutowej postaci choroby, zwiększona jest również znacznie śmiertelność

---

---

chorych. Ze względu na charakter nowotworu, związany z naciekaniami okolicznych tkanek oraz niszczeniem sąsiadujących struktur, choroba może prowadzić do trwałych zniekształceń oraz defektów, a w konsekwencji do istotnego pogorszenia jakości życia chorych [PTOK 2022]. Pacjenci oprócz przewlekłego bólu są również narażeni ze zwiększone ryzyko infekcji z powodu otwartych ran, a w konsekwencji również utratę funkcjonalności tkanek [Mathias 2014, Mohan 2014, Steenrod 2015, Berens 2017], jak i zwiększoną zapadalność na inne nowotwory skóry (w tym czerniaka) [PTOK 2022].

Analizowana jednostka chorobowa ze względu na rozległość i lokalizację zmian (głównie obszar głowy, twarzy oraz szyi) utrudnia również chorym funkcjonowanie i realizację codziennych czynności. Pacjenci często obciążeni są również działaniami niepożądanymi po wcześniejszych terapiach (leczeniu chirurgicznym, radioterapii, czy chemioterapii). Codzienne funkcjonowanie utrudnione jest dodatkowo przez obciążenie psychospołeczne i emocjonalne chorych [Mohan 2014, Hansson 2018]. Wszystkie te czynniki mogą prowadzić do zmniejszenia produktywności chorych bądź ograniczeń dla ich opiekunów, co z kolei może prowadzić do wzrostu kosztów społecznych.

Refundacja cemiplimabu umożliwi wydłużenie czasu przeżycia całkowitego, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*.

Progresywny charakter analizowanej jednostki chorobowej prowadzi do niepełnosprawności chorych. W efekcie społeczeństwo obciążone jest istotnymi kosztami utraty produktywności. Koszty te są tym wyższe im mniej skutecznie prowadzona jest terapia tych chorych. Obecnie chorzy nie mają zagwarantowanego dostępu do skutecznej metody leczenia przez co koszty społeczne są eskalowane. Refundacja cemiplimabu pomoże ograniczyć te koszty i będzie stanowiła odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę społeczną.

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu LIBTAYO® w ramach programu lekowego dotyczy wyłącznie chorych kwalifikujących się do programu lekowego, a zatem pacjentów spełniających wszystkie kryteria włączenia, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

Na podstawie *Analizy klinicznej* stwierdzić można, że wnioskowana technologia wydłuża czas przeżycia wolny od progresji choroby oraz czas przeżycia całkowitego, generuje więc istotne klinicznie dodatkowe efekty zdrowotne, w porównaniu z brakiem aktywnej terapii. W zakresie

---

profilu bezpieczeństwa stwierdzono, że terapia cemiplimabem jest terapią o pozytywnym stosunku korzyści do ryzyka.

Pozytywna decyzja dotycząca finansowania technologii wnioskowanej, nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia.

Poniższa tabela przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

**Tabela 29.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	Żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych
Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia.	Tak
<b>Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:</b>	
wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
grozić niezakaceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
wywoływać ponadprzeciętny lęk;	Nie
powodować dylematy moralne;	Nie
stwarzać problemy dotyczące płci lub rodziny.	Nie
<b>Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:</b>	
nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
<b>Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:</b>	
konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
potrzeba zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych;	Nie
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

---

## 6. Założenia i ograniczenia

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

---

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

---

---

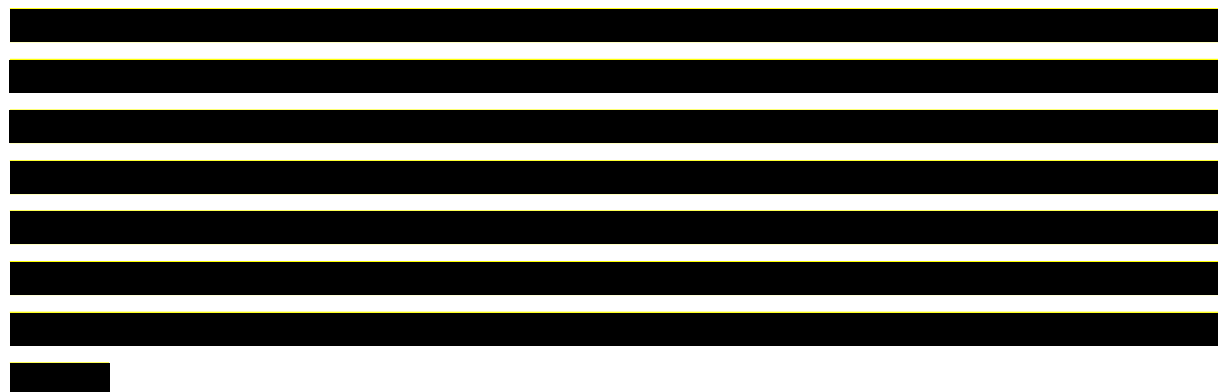
## 7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu LIBTAYO® (cemiplimab) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności lek dostępny w programie lekowym.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją dorośli chorzy z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnkomórkowym skóry, u których nastąpiła progresja lub wykazano nietolerancję na terapię inhibitorem HHI.

Wpływ na system ochrony zdrowia określono w odniesieniu do następujących obszarów:

- ⊗ populacyjnych (oszacowanie potencjału rynkowego leku oraz prognoza liczebności populacji, która prawdopodobnie skorzysta z leku w sytuacji jego sfinansowania);
- ⊗ finansowych (analiza wpływu na budżet);
- ⊗ organizacji udzielania świadczeń;
- ⊗ etycznych i społecznych.



Konstrukcja analizy wpływu na budżet objęła zestawienie ze sobą dwóch scenariuszy, w którym pierwszy zakłada brak refundacji, a drugi wprowadzenie do refundacji technologii wnioskowanej. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego oraz pacjenta. Analizę wykonano dla okresu 2 lat, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową. Uwzględniono koszty leków, koszty przepisania i podania leków, koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego, koszty diagnostyki, monitorowania i oceny

---

skuteczności leczenia, koszty leczenia działań/zdarzeń niepożądanych, koszty leczenia wspomagającego oraz koszty leczenia paliatywnego.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej. Cenę zbytu netto cemiplimabu otrzymano od *Wnioskodawcy*.

Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz aspekty etyczne i społeczne zostały określone zgodnie z metodyką zaproponowaną w *Wytycznych AOTMiT*.

Bezpośrednią konsekwencją decyzji refundacyjnej będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy u chorych nie mieli opcji leczenia aktywną terapię, mogą tylko zaproponować chorych wspomagające leczenie objawowe lub leczenie paliatywne, teraz będą mogli skorzystać z terapii lekiem LIBTAYO®. Zgodnie z przedstawionymi szacunkami w pierwszym roku refundacji z terapii cemiplimabem

W konsekwencji finansowanie leku LIBTAYO® zapewni chorym z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnokomórkowym skóry dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia.

---

Mając na uwadze racjonalizację środków w ochronie zdrowia oraz wychodząc naprzeciw oczekiwaniom Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Funduszu Zdrowia w zakresie refundacji leków, Zamawiający proponuje zawarcie umowy podziału ryzyka (RSS).

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku LIBTAYO® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku LIBTAYO® przyczyni się do znaczącej poprawy sytuacji chorych z nowotworami złośliwymi w Polsce, co jest jednym z priorytetów zdrowotnych Ministerstwa Zdrowia (zgodnie z *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie priorytetów zdrowotnych*).

---



## 8. Załączniki

### 8.1. Uzasadnienie finansowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącej grupy limitowej

Zgodnie z *Obwieszczeniem MZ* lek LIBTAYO® jest obecnie finansowany w ramach grupy limitowej 1231.0 *Cemiplimab*. Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, że lek LIBTAYO® można zakwalifikować do finansowania w ramach obecnie istniejącej grupy limitowej 1231.0, *Cemiplimab*.

Wnioskowany lek spełnia kryteria kwalifikacji do wspólnych grup limitowych, o których mowa w art. 15 ust 2 *Ustawy o refundacji* ze względu na tę samą nazwę międzynarodową, te same mechanizmy działania i te same działania terapeutyczne. W stosunku do obecnie refundowanego preparatu, niniejszy wniosek obejmuje wnioskowanie dla innego wskazania z *ChPL LIBTAYO®* niż obecnie refundowane.

### 8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań

Tabela 30.

Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań*

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
1.	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	n/d
1.1.	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK, rozdział 2.5.1.
1.2.	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK, rozdział 2.5.2.
1.3.	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK, rozdział 2.5.3.
1.4.	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.5.4.
2.	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
2.1.	Aktualnych	TAK, rozdział 2.8.1.
2.2.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje	TAK, rozdział 2.8.1.
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.2.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.2.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.2.
8.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7.
9.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 6.
9.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 6.
10.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
12.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji
13.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach	TAK

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
	<ul style="list-style-type: none"> <li>• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka),</li> <li>• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka</li> </ul>	
13.1.	<p>Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</li> <li>• w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</li> </ul>	TAK, rozdział 8.1.

### 8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

Tabela 31.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)

Miesiąc	1. rok refundacji			2. rok refundacji		
	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.
1.						
2.						
3.						
4.						
5.						
6.						
7.						
8.						
9.						
10.						
11.						
12.						
SUMA*						

[Redacted content]

[Redacted content]

[Redacted content]

Tabela 32.

[Redacted content]

Kryterium	Średnia	Min	Max	Dodatkowy komentarz

**Tabela 33.**

Kryterium	Średnia	Min	Max	Dodatkowy komentarz

## 9. Spis tabel

Tabela 1. Określenia liczebności pacjentów z podziałem na stopień zaawansowania NSCLC na podstawie raportu <i>KRN Raport 2016</i> .....	18
Tabela 2. Określenia liczebności pacjentów po uwzględnieniu testowania i wykrywania braku mutacji EGFR, ALK lub ROS0-1 oraz ekspresji PD-L1 .....	19
Tabela 3. Liczba chorych stanowiąca populację chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....	21
Tabela 4. Dane historyczne dotyczące leczenia wismodegibem w ramach <i>Programu lekowego B.88</i> .....	22
Tabela 5. Dane prognozowane dotyczące leczenia wismodegibem w ramach <i>Programu lekowego B.88</i> .....	23
Tabela 6. Liczebność chorych z niepowodzeniem terapii HHI w kolejnych latach analizy (analiza podstawowa).....	25

---

Tabela 7. Populacja docelowa, wartości roczne liczebności nowych chorych kwalifikujących się do leczenia cemiplimabem, wskazane we wniosku.....	27
Tabela 8. Udziały w rynku w analizie podstawowej.....	29
Tabela 9. Udziały w rynku w analizie wrażliwości .....	29
Tabela 10. [REDACTED].....	30
Tabela 11. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	31
Tabela 12. Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN) .....	33
Tabela 13. Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN) ....	34
Tabela 14. Koszt jednostkowy podania leku .....	35
Tabela 15. [REDACTED].....	37
Tabela 16. [REDACTED].....	38
Tabela 17. [REDACTED].....	38
Tabela 18. [REDACTED].....	38
Tabela 19. [REDACTED].....	39
Tabela 20. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet .....	41

---

---

Tabela 21. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS .....	44
Tabela 22. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS.....	44
Tabela 23. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS.....	45
Tabela 24. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS.....	45
Tabela 25. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji z RSS.....	50
Tabela 26. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji bez RSS.....	53
Tabela 27. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji z RSS .....	57
Tabela 28. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji bez RSS .....	60
Tabela 29. Aspekty społeczne i etyczne.....	67
Tabela 30. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	73
Tabela 31. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) .....	76
Tabela 32. [REDACTED] .....	76

---

---

Tabela 33. [REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED] ..... 77

---



---

## 10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet .....	16
Rysunek 2. Warianty prognozy liczby chorych leczonych wismodegibem w ramach PL B.88.....	23
Rysunek 3. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego w wersji z RSS (PLN).....	47
Rysunek 4. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego w wersji bez RSS (PLN).....	47
Rysunek 5. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej w wersji z RSS (PLN).....	48
Rysunek 6. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej w wersji bez RSS (PLN).....	48

---

## 11. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna, LIBTAYO® (cemiplimab) w monoterapii w leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnkomórkowym skóry – analiza problemu decyzyjnego, MAHTA, Warszawa 2022
Analiza Erivedge 2015	Wismodegib (Erivedge®) w leczeniu zaawansowanego raka podstawnkomórkowego – analiza wpływu na system ochrony zdrowia, Kraków 2015, Instytut Arcana, <a href="https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2015/109/AW/109_AW_OT_4351_37_Erivedge_BIA_2015.10.08.pdf">https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2015/109/AW/109_AW_OT_4351_37_Erivedge_BIA_2015.10.08.pdf</a>
Analiza kliniczna	Analiza kliniczna, LIBTAYO® (cemiplimab) w monoterapii w leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnkomórkowym skóry – analiza problemu decyzyjnego, MAHTA, Warszawa 2022
Analiza problemu decyzyjnego	Analiza problemu decyzyjnego, LIBTAYO® (cemiplimab) w monoterapii w leczeniu dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym rakiem lub z przerzutowym rakiem podstawnkomórkowym skóry – analiza problemu decyzyjnego, MAHTA, Warszawa 2022
AWA Erivedge 2015	Analiza weryfikacyjna do wniosku o objęcie refundacją leku Erivedge (wismodegib) we wskazaniu: miejscowo zaawansowany rak podstawnkomórkowy skóry lub objawowy rak podstawnkomórkowy skóry z przerzutami odległymi, Nr AOTMiT-OT-4351/37/2015, <a href="https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2015/109/AWA/109_OT_4351_37_Erivedge_AWA_2015.10.08.pdf">https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2015/109/AWA/109_OT_4351_37_Erivedge_AWA_2015.10.08.pdf</a>
[REDACTED]	[REDACTED]
Bassompierre 2018	Bassompierre A., Capelle C., Andre F., i in., <i>Traitement intermittent par vismodégib des carcinomes basocellulaires (CBC) avancés : efficacité et tolerance</i> , Ann Dermatol Venereol. 2018. Vol. 145, Issue 12, Supplement, Pages S96-S97
Becquart 2018	Becquart O., Arpinon J., Capelle C., <i>Carcinomes basocellulaires (CBC) avancés nécessitant un traitement systémique : état des lieux du réseau CARADERM</i> , Ann Dermatol Venereol. 2018, Vol. 145, Issue 12, Supplement,
Berens 2017	Berens A.M., Akkina S.R., Patel S.A., <i>Complications in facial Mohs defect reconstruction</i> , Curr Opin Otolaryngol Head Neck Surg, 25:000–000, 2017
BIA Keytruda 2018	Pembrolizumab (Keytruda®) skojarzony z chemioterapią w I linii leczenia niedrobnokomórkowego raka płuca o typie niepłaskonabłonkowym. Analiza wpływu na budżet. Wersja 1.0. HTA Consulting, Kraków 2018. <a href="https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/131/AW/131_AW_4_OT_4331_34_AWB_Keytruda_2019.08.07.pdf">https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/131/AW/131_AW_4_OT_4331_34_AWB_Keytruda_2019.08.07.pdf</a> , (data dostępu 28.07.2022)
BIA Opdivo 2020	Niwolumab (Opdivo) w skojarzeniu z ipilimumabem (Yervoy) oraz chemioterapią w leczeniu I linii przerzutowego niedrobnokomórkowego raka płuca. Analiza wpływu na budżet. HTA Consulting, Kraków 2020. <a href="https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2021/039/AW/38_39_AW_OT.4231.5.2021_Opdivo_Yervoy_BIA.pdf">https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2021/039/AW/38_39_AW_OT.4231.5.2021_Opdivo_Yervoy_BIA.pdf</a> (data dostępu 28.07.2022)
ChPL LIBTAYO®	Charakterystyka Produktu Leczniczego LIBTAYO®, <a href="https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/libtayo-epar-product-information_pl.pdf">https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/libtayo-epar-product-information_pl.pdf</a> (data dostępu: 30.06.2022 r.)

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Cowey 2022	Cowey L, Chen CI, Aguilar KM i in, Real-World Treatment Patterns and Outcomes Among Patients with Basal Cell Carcinoma Following First-Line Hedgehog Inhibitor Discontinuation. <i>Dermatol Ther (Heidelb)</i> . 2022 May;12(5):1211-1224.
Dane GUS	Dane Głównego Urzędu Statystycznego <a href="https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2021,3,15.html">https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2021,3,15.html</a>
Dane od Wnioskodawcy	Dane otrzymane od Wnioskodawcy w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej; mechanizmu RSS; wielkości populacji chorych z rakiem kolczystokomórkowym skóry, u których może zostać zastosowany cemiplimab
Dietel 2019	Dietel M., Savelov N., Salanova R., i in., <i>Real-world prevalence of programmed death ligand 1 expression in locally advanced or metastatic non-small-cell lung cancer: The global, multicenter EXPRESS study</i> , <i>Lung Cancer</i> . 2019 Aug;134:174-179
Ferlay 2007	Ferlay J., Autier P., Boniol M., i in., <i>Estimates of the cancer incidence and mortality in Europe in 2006</i> , <i>Ann Oncol</i> . 2007 Mar;18(3):581-92
Goldenberg 2016	Goldenberg G., Karagiannis T., Palmer J.B., i in., <i>Incidence and prevalence of basal cell carcinoma (BCC) and locally advanced BCC (LABCC) in a large commercially insured population in the United States: A retrospective cohort study</i> , <i>J Am Acad Dermatol</i> .;75(5):957-66.e2, 2016
Hansson 2018	Hansson J, Bartley K, Karagiannis T, i in., <i>Assessment of quality of life using Skindex-16 in patients with advanced basal cell carcinoma treated with vismodegib in the STEVIE study</i> . <i>Eur J Dermatol</i> . 2018
KRN Raport 2019	Didkowska J, Wojciechowska U, Śliwczyński A. Raport dotyczący stopni zaawansowania, leczenia oraz przeżyć chorych na raka płuca zgłoszonych do KRN w latach 2014-2016. Warszawa 2019, <a href="http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Rak_pluca_2019.pdf">http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Rak_pluca_2019.pdf</a> (data dostępu 28.07.2022)
KRN Statystyki 2019	Statystyki Krajowego Rejestru Nowotworów - <a href="http://onkologia.org.pl/raporty/#tabela_nowotwor">http://onkologia.org.pl/raporty/#tabela_nowotwor</a> (data dostępu 25.07.2022)
Mathias 2014	Mathias S.D., Chren M-M., Colwell H.H., i in., <i>Assessing Health-Related Quality of Life for Advanced Basal Cell Carcinoma and Basal Cell Carcinoma Nevus Syndrome Development of the First Disease-Specific Patient-Reported Outcome Questionnaires</i> , <i>JAMA Dermatol</i> .;150(2):169-176, 2014
Mohan 2014	Mohan S.V., Chang A.L.S., <i>Advanced Basal Cell Carcinoma: Epidemiology and Therapeutic Innovations</i> , <i>Curr Derm Rep</i> , 3:40–45, 2014
Program lekowy B.125	Program lekowy „Leczenie chorych na zaawansowanego raka kolczystokomórkowego skóry cemiplimabem (ICD-10: C44.12, C44.22, C44.32, C44.42, C44.52, C44.62, C44.72, C44.82, C44.92) regulowany załącznikiem B.125 do Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 21 czerwca 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2022 r.
Program lekowy B.88	Program lekowy „Leczenie chorych na zaawansowanego raka podstawnocomórkowego skóry wismodegiem” (ICD-10 C44.0) regulowany załącznikiem B.88 do Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 21 czerwca 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2022 r.
PTOK 2022	Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej, <i>Postępowanie diagnostyczno-terapeutyczne u chorych na raki skóry – zalecenia ekspertów</i> , <i>Oncol Clin Pract</i> .
Raport jednoczesowej radiochemioterapii u chorych na NSCLC 2021	Raport, Jednoczesowa radiochemioterapia w leczeniu chorych na niedrobnokomórkowego, nieoperacyjnego raka płuca, <i>Modern Healthcare Institute, 2021</i> , <a href="https://www.zwrotniakraka.pl/wp-content/uploads/2021/10/jednoczasowa-radiochemioterapia-rak-pluca-raport.pdf">https://www.zwrotniakraka.pl/wp-content/uploads/2021/10/jednoczasowa-radiochemioterapia-rak-pluca-raport.pdf</a> (data dostępu 28.07.2022)

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań	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, o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu
Rozporządzenie MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych z późn. zm.
Sekulic 2017	Sekulic A., Migden M.R., Basset-Seguín N., i inni. <i>Long-term safety and efficacy of vismodegib in patients with advanced basal cell carcinoma: final update of the pivotal ERIVANCE BCC study</i> , BMC Cancer. 2017;17(1):332.
Słowińska 2022	Słowińska M, Dudzisz-Śledź M, Sobczuk P i in., <i>Analysis of efficacy and safety of vismodegib therapy in patients with advanced basal cell carcinoma - real world multicenter cohort study</i> . J Eur Acad Dermatol Venereol. 2022 Mar 13.
Sprawozdania NFZ	Załączniki IV.3.2. do Uchwał Rady Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał w latach 2017 r. – 2021 r.
Steenrod 2015	Steenrod A.W., Nash Smyth E., Bush E.N., i in., <i>A Qualitative Comparison of Symptoms and Impact of Varying Stages of Basal Cell Carcinoma</i> , Dermatol Ther (Heidelb), 5:183–199, 2015
Ustawa o refundacji	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
Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz. U. Nr. 210, poz. 2135
Wykaz leków refundowanych / Obwieszczenie MZ	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 czerwca 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2022 r.
Wytyczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016
Zarządzenie programy lekowe	Zarządzenie Nr 71/2022/DGL Prezesa NFZ z dnia 1 czerwca 2022 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe