



Vyvgart[®] (efgartigimod alfa) w leczeniu miastenii

Analiza wpływu na budżet

Warszawa, marzec 2023

Autorzy

[Redacted]

Konsultacje

[Redacted]

Dane kontaktowe

HealthQuest spółka z ograniczoną odpowiedzialnością

ul. Mickiewicza 63

01-625 Warszawa

tel/fax +48 22 468 05 34

kontakt@healthquest.pl

<http://www.healthquest.pl>

Zamawiający

Medison Pharma Sp. z o.o

ul. Puławska 2/budynek C

02-566 Warszawa

Informacje dodatkowe

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

Spis treści

Spis treści	2
Wykaz skrótów i akronimów	4
Streszczenie	5
1 Cel analizy	7
2 Metodyka	8
2.1 Populacja	9
2.1.1 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.....	9
2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku	10
2.1.3 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana ...	12
2.1.4 Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.....	12
2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji	13
2.2 Opis modelu	13
2.3 Perspektywa analizy	14
2.4 Horyzont czasowy analizy	15
2.5 Analizowane koszty	15
2.5.1 Koszt wnioskowanego leku	15
2.5.2 Podsumowanie pozostałych danych kosztowych wykorzystanych w modelu	17
2.6 Scenariusze analizy	27
2.6.1 Scenariusz istniejący	27
2.6.2 Scenariusze nowe.....	27
3 Wyniki	29
3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ.....	29
3.2 Wariant najbardziej prawdopodobny	29
3.3 Wariant minimalny	32
3.4 Wariant maksymalny.....	35
4 Ograniczenia i dyskusja	38
5 Aspekty etyczne, społeczne, prawne, wpływ na organizację udzielania świadczeń.....	40
6 Analiza racjonalizacyjna	41
6.1 Założenia analizy	41
6.2 Przedmiot analizy	44
6.3 Metodyka	44
6.4 Wyniki analizy.....	46

7	Wnioski	48
	Spis rysunków	49
	Spis tabel	50
	Bibliografia	51

Wykaz skrótów i akronimów

AChEi	inhibitor acetylocholinesterazy (ang. <i>acetylcholinesterase inhibitor</i>)
AChR	receptor acetylocholiny (ang. <i>acetylcholine receptor</i>)
AChR-Ab+	obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholiny
AE	zdarzenie niepożądane (ang. <i>adverse event</i>)
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
APD	Analiza Problemu Decyzyjnego
AWA	analiza weryfikacyjna
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CMi	klinicznie istotna poprawa (ang. <i>clinically meaningful improvement</i>)
CS	kortykosteroidy (ang. <i>corticosteroids</i>)
gMG	uogólniona miastenia (ang. <i>generalized myasthenia gravis</i>)
HCRU	wykorzystanie zasobów opieki zdrowotnej (ang. <i>healthcare resource use</i>)
HR	współczynnik ryzyka (ang. <i>hazard ratio</i>)
ICU	oddział intensywnej terapii (ang. <i>intensive care unit</i>)
IV	dożylnie (ang. <i>intravenous</i>)
IVIG	immunoglobuliny dożylnie (ang. <i>intravenous immunoglobulins</i>)
JGP	Jednorodne Grupy Pacjentów
MG	miastenia (ang. <i>myasthenia gravis</i>)
MG-ADL	Miastenia Gravis - Aktywności Życia Codziennego (ang. <i>Myasthenia Gravis Activities of Daily Living</i>)
MGFA	<i>Myasthenia Gravis Foundation of America</i>
MZ	Ministerstwo Zdrowia
n. d.	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NSIST	niesteroidowe leki immunosupresyjne (ang. <i>nonsteroidal immunosuppressants</i>)
PICOS	populacja, interwencja, komparator, wyniki zdrowotne i typ badań (ang. <i>population, intervention, comparison, outcomes, study</i>)
PLN	polski złoty
PV	bieżąca wartość (ang. <i>present value</i>)
■	<div style="background-color: black; width: 200px; height: 15px;"></div>
SoC	standardowa terapia (ang. <i>standard of care</i>)
ToT	czas leczenia (ang. <i>time on treatment</i>)

Streszczenie

Cel pracy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w leczeniu dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastenii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholino (AChR-Ab+), leczonych glikokortykosteroidem w dużych dawkach w terapii skojarzonej z innym lekiem immunosupresyjnym.

Wniosek refundacyjny, złożony przez zleceniodawcę analizy dotyczy jednej prezentacji produktu leczniczego Vyvgart®:

- 20 mg/ml, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji (fiolka zawiera 400 mg efgartigimodu alfa).

Metodyka

W analizie założono finansowanie leku efgartigimod alfa (Vyvgart®) w katalogu B – leki dostępne w ramach programu lekowego. Preparat wydawany ma być pacjentom bezpłatnie.

W ramach niniejszej analizy oszacowano koszty dla budżetu płatnika publicznego związane z leczeniem efgartigimodem alfa na tle kosztów terapii standardowej. Dobór komparatorów wynika z argumentów przedstawionych w analizie problemu decyzyjnego [APD Vyvgart].

W niniejszej analizie wykorzystano globalny model analizy wpływu na budżet zaimplementowany w programie MS Excel, dostarczony przez wnioskodawcę. Model adaptowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie polskich danych kosztowych oraz liczebności populacji oszacowanej w oparciu o piśmiennictwo oraz opinie ekspertów klinicznych. W analizie uwzględniono koszty związane z nabyciem i podaniem leków, monitorowaniem pacjenta, powikłaniami związanymi z przewlekłym zastosowaniem kortykosteroidów, zdarzeniami niepożądanymi występującymi podczas leczenia, leczeniem zaostrzeń oraz kryzysów miastenicznych. Koszty szacowano w oparciu o dane NFZ i dane z aktualnego obwieszczenia MZ. W przypadku kosztu efgartigimodu alfa wykorzystano dane przekazane przez wnioskodawcę. Zużycie zasobów przyjęto w oparciu o dane literaturowe (m.in. dane przedstawione w ChPL) oraz dane przekazane przez ekspertów klinicznych.

Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w którym oszacowano koszty leczenia pacjentów przy założeniu

Poszczególne warianty scenariusza

Szacowanie liczebności populacji docelowej przeprowadzono w oparciu o dane z piśmiennictwa

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) w horyzoncie 2 lat.

Wyniki

Dla wariantu najbardziej prawdopodobnego, koszty refundacji wnioskowanej terapii (efgartigimod alfa + SoC) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED]

Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

W ramach tego scenariusza do leczenia wnioskowana technologia kwalifikuje się [REDACTED]

Dla wariantu minimalnego, koszty refundacji wnioskowanej terapii (efgartigimod alfa + SoC) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED]

Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

W ramach tego scenariusza do leczenia wnioskowana technologia kwalifikuje się [REDACTED]

Dla wariantu maksymalnego, koszty refundacji wnioskowanej terapii (efgartigimod alfa + SoC) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED]

Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

W ramach tego scenariusza do leczenia wnioskowana technologia kwalifikuje [REDACTED]

Podsumowanie

Analiza wykazała, że dostęp do terapii preparatem Vyvgart (efgartigimod alfa) w populacji pacjentów z uogólnioną miastenią [REDACTED]

[REDACTED] Należy jednocześnie podkreślić, że pozytywna decyzja refundacyjna dla efgartigimodu alfa wpłynie na poszerzenie możliwości terapeutycznych w przypadku dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią.

1 Cel analizy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w leczeniu dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastenii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholino (AChR-Ab+), leczonych glikokortykosteroidem w dużych dawkach w terapii skojarzonej z innym lekiem immunosupresyjnym.

Wniosek refundacyjny, złożony przez zleceniodawcę analizy dotyczy jednej prezentacji produktu leczniczego Vyvgart®:

- 20 mg/ml, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji (fiolka zawiera 400 mg efgartigimodu alfa).

2 Metodyka

W niniejszym rozdziale przedstawiono zestawienie tabelaryczne wartości i wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań dotyczących:

- rocznej liczebności populacji;
- rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (zwana dalej ustawą refundacyjną), lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy refundacyjnej;
- aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje;
- dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, w tym minimalnych i maksymalnych wariantów dla tego oszacowania;
- ilościowej prognozy rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy refundacyjnej
- ilościowej prognozy rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy refundacyjnej.

W analizie zdefiniowano scenariusz istniejący: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny oraz scenariusze nowe: najbardziej prawdopodobny oraz minimalny i maksymalny (patrz Rozdział 2.6.1 oraz 2.6.2).

2.1 Populacja

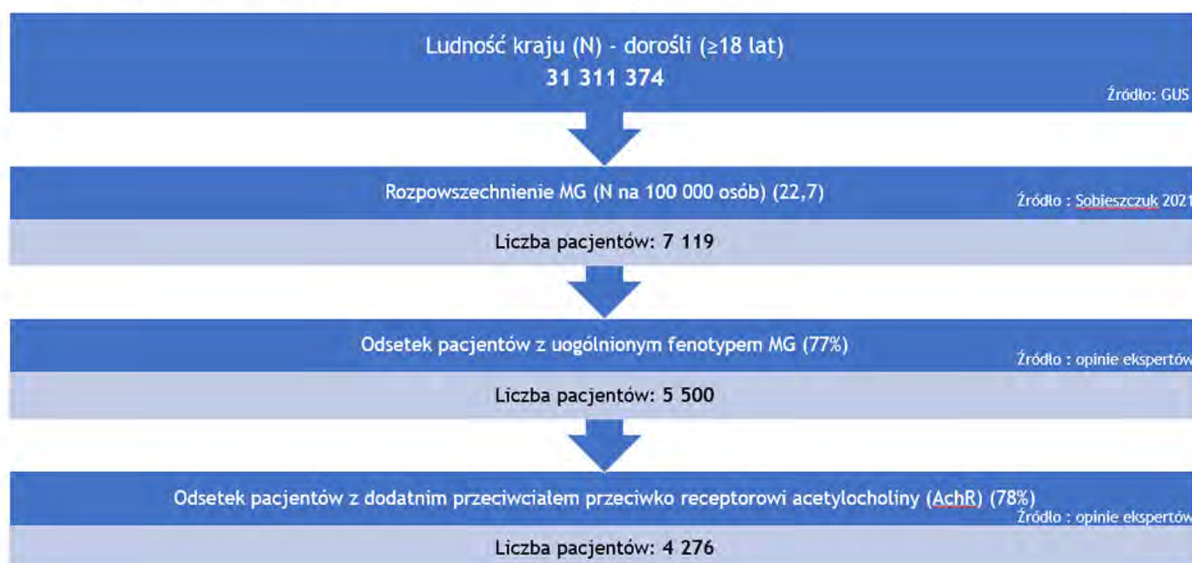
2.1.1 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, efgartigimod alfa (Vyvgart®) jest wskazany w leczeniu:

- Uogólniona miastenia rzekomoporaźna (gMG),
 - leczenie uzupełniające do standardowej terapii dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią rzekomoporaźną (gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholiny (AChR).

Oszacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana przedstawiono na Rys. 1 i Rys. 2. Dane pochodzące z ankiet ekspertów zostały przedstawione w dokumencie opisującym analizę ekonomiczną (CEA Efgartigimod).

Rys. 1 Oszacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana - rozpowszechnienie.



Rys. 2 Oszacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana - chorobowość.



W tabeli poniżej przedstawiono liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.

Tab. 1. Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.

Wskazanie	Liczebność populacji	Źródło
Dorośli pacjenci z uogólnioną miastenią rzekomoporażną (gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholiny (AChR).	4 726	GUS 2020, Sobieszczuk 2021, opinie ekspertów

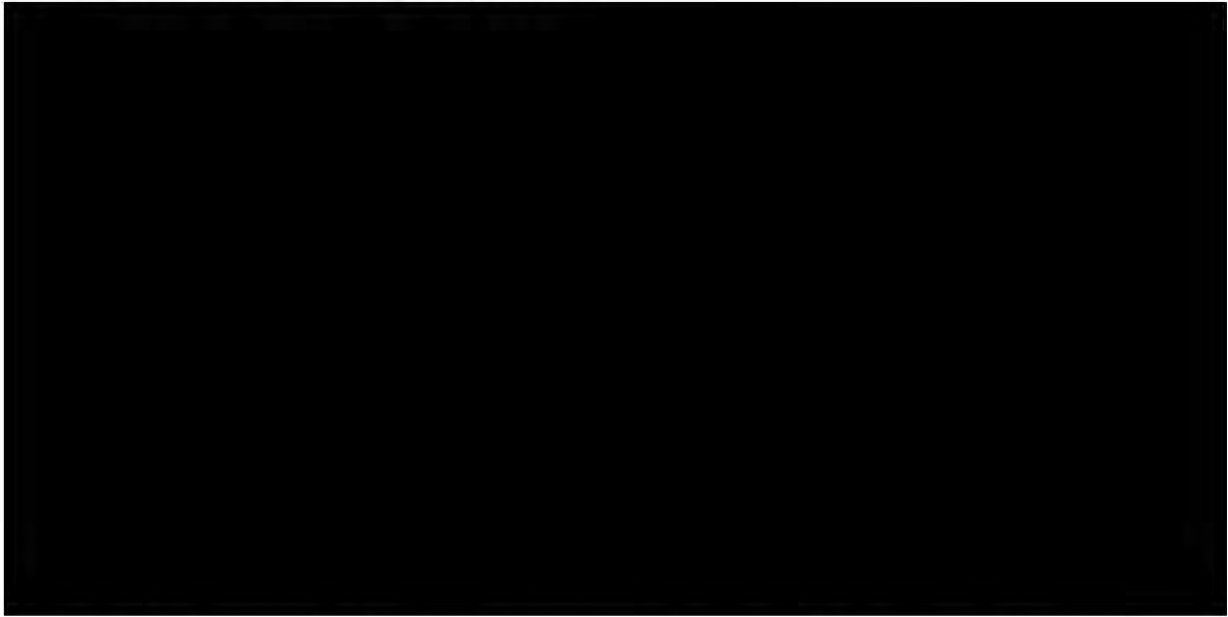
GUS - Główny Urząd Statystyczny

2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dotyczy dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastenii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholiny, leczonych glikokortykosteroidem w dużych dawkach w terapii skojarzonej z innym lekiem immunosupresyjnym.

Liczebność populacji docelowej oszacowano w oparciu dane literaturowe oraz opinie ekspertów.

Rys. 3 Oszacowanie liczebności populacji docelowej - rozpowszechnienie (wariant najbardziej prawdopodobny).



Rys. 4 Oszacowanie liczebności populacji docelowej - chorobowość (wariant najbardziej prawdopodobny).



W tabeli poniżej podsumowano liczebność populacji docelowej w 1. i 2. roku analizy.

Tab. 2. Liczebność populacji docelowej w horyzoncie analizy.

Wariant analizy	Liczebność populacji		Źródło
	1. rok	2. rok	
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia

2.1.3 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana oszacowano na podstawie danych przekazanych przez wnioskodawcę. [REDACTED]

Tab. 3. Liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana.

Wskazanie	Liczebność populacji	Źródło
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

ChPL - Charakterystyka Produktu Leczniczego

2.1.4 Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją

Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Tab. 4. Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.

Wariant analizy	Liczebność populacji		Źródło
	1. rok	2. rok	
██████████	██	██	████████████████████
██████████	██	██	
██████████	██	██	

2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji

Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji przedstawione w rozdziałach 2.1.1 – 2.1.4 zestawiono w tabeli poniżej.

Tab. 5. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.

Populacja	Liczebność populacji		Odnosnik do rozdziału i tabeli
	1. rok	2. rok	
Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	4 726		Rozdział 2.1.1, Tab. 1
Pacjenci ze wskazaniem określonym we wniosku	██████████	██████████	Rozdział 2.1.2, Tab. 2
Pacjenci, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	██		Rozdział 2.1.3, Tab. 3
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym - wariant podstawowy	██	██	Rozdział 2.1.4, Tab. 4
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym - wariant minimalny	██	██	Rozdział 2.1.4, Tab. 4
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym - wariant maksymalny	██	██	Rozdział 2.1.4, Tab. 4

2.2 Opis modelu

W niniejszej analizie wykorzystano globalny model analizy wpływu na budżet zaimplementowany w programie MS Excel, dostarczony przez wnioskodawcę. Model szacuje koszty związane z leczeniem efgartigimodu alfa (jako dodatek do obecnych opcji leczenia, tj. terapii standardowej) w porównaniu z terapią standardową. Model szacuje wydatki na opiekę zdrowotną w scenariuszu, w którym efgartigimod alfa nie jest dostępny, i porównuje je z wydatkami na opiekę zdrowotną w scenariuszu, w którym efgartigimod alfa jest

refundowany. Analiza przeprowadzona jest horyzoncie czasowym obejmującym 2 lata i uwzględnia kilka kategorii kosztów, jak opisano szczegółowo w rozdziale 2.5. Model adaptowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie polskich danych kosztowych oraz wielkości populacji. Biorąc pod uwagę stosunkowo krótki horyzont czasowy, wyniki i koszty nie są dyskontowane. Model wpływu na budżet wywodzi się bezpośrednio z modelu ekonomicznego opracowanego dla efgartigimodu alfa [AE Vyvgart]. Dane wejściowe stosowane w tym modelu (koszty leczenia, skuteczność leczenia, odsetki zdarzeń niepożądanych itp.) są zgodne z modelem opłacalności.

Kalkulator BIA składa się 3 głównych arkuszy:

- „Inputs” – arkusz umożliwiający zdefiniowanie parametrów wejściowych modelu wpływu na budżet;
- „Outputs” – arkusz z wynikami analizy;
- „Dane kosztowe” – arkusze z danymi polskimi kosztowymi.

Dodatkowo kalkulator zawiera arkusze pomocnicze i obliczeniowe w tym:

- „Dane DGL - apteka”, „Dane DGL - PL” – arkusze z danymi wykorzystanymi w celu oszacowania danych kosztowych;
- „Dane z ankiet” – arkusz z danymi przekazanymi przez ekspertów klinicznych;
- „GUS 2020” – arkusz z danymi wykorzystanymi w celu oszacowania populacji docelowej;
- „HCRU” – arkusz z danymi dotyczącymi odsetków wykorzystania zasobów opieki zdrowotnej;
- „Calculations - SUMA”, „Calculations - SoC”, „Calculations - EFGA” – obliczenia dla scenariuszy istniejących i nowych;
- „Dosage” – arkusz z obliczeniami dawek leków uwzględnionych w analizie;
- „Dropdown” – arkusz z zebranymi parametrami wyboru;
- „Cover”, „Intro” – arkusze wprowadzające do modelu;
- „Dane AR” – arkusz zawierający dane wejściowe, wykorzystane w celu przeprowadzenia analizy racjonalizacyjnej;
- „Wyniki AR” – arkusz podsumowujący wyniki analizy racjonalizacyjnej.

2.3 Perspektywa analizy

Analizę, zgodnie z obowiązującymi przepisami [Rozporządzenie MZ 2012] wykonano z perspektywy podmiotu finansującego świadczenia ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ).

2.4 Horyzont czasowy analizy

Analizę przeprowadzono w horyzoncie 2 lat co wynika z czasu obowiązywania pierwszej decyzji refundacyjnej. Mając na uwadze termin przygotowania analizy i czas konieczny na przeprowadzenie postępowania administracyjnego dotyczącego wniosku o refundację, horyzont czasowy obejmuje lata: 2024 – 2025.

2.5 Analizowane koszty

W modelu analizy wpływu na budżet uwzględniono koszty związane z:

- nabyciem i podaniem leków;
- monitorowaniem pacjenta;
- powikłaniami związanymi z przewlekłym zastosowaniem kortykosteroidów;
- leczeniem zaostrzeń oraz kryzysów miastenicznych;
- zdarzeniami niepożądanymi występującymi podczas leczenia.

Obecna analiza została opracowana w celu uwzględnienia kosztów, które ściśle odzwierciedlałyby rzeczywiste koszty leczenia w Polsce. Zastosowano średnią ważoną opartą na danych dotyczących sprzedaży.

2.5.1 Koszt wnioskowanego leku

2.5.1.1 Uzasadnienie kategorii odpłatności i kwalifikacji do grupy limitowej wnioskowanego leku

Wnioskowane jest wprowadzenie finansowania leku efgartigimod alfa ze środków publicznych w leczeniu uogólnionej miastonii w ramach programu lekowego.

Lek będzie kwalifikowany do nowej grupy limitowej.

Nie zidentyfikowano grupy limitowej, w której byłyby leki o tej samej nazwie międzynarodowej lub innej nazwie międzynarodowej, ale podobnym działaniu terapeutycznym i zbliżonym mechanizmie działania do leku Vyvgart - brak spełnienia kryteriów wymienionych w itp. 15 ust. 2 ustawy zezwalających na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej.

Nie zidentyfikowano również grupy limitowej, w której byłyby leki uzyskujące podobny efekt zdrowotny lub podobny dodatkowy efekt zdrowotny do leku Vyvgart, pomimo odmiennych mechanizmów działania leków - brak spełnienia kryteriów wymienionych w itp. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy zezwalających na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej.

Vyvgart jest lekiem, co oznacza, że itp. 15 ust. 3 pkt 3 ustawy odnoszący się do środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego nie znajduje zastosowania.

W Analizie klinicznej [AEK Vyvgart] wykazano, że stosowanie efgartigimodu alfa daje dodatkowe efekty zdrowotne w porównaniu do dotychczas refundowanego standardowego

postępowania leczniczego - spełnienie kryteriów wymienionych w itp. 15 ust. 2 pkt 1 ustawy zezwalających na utworzenie nowej grupy limitowej.

W związku z powyższym, ze względu na brak spełnienia kryteriów wymienionych w itp. 15 ust. 2 ustawy i zapisów itp. 15 ust. 3 pkt 2 wskazujących na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej oraz uzyskiwane efekty zdrowotne i dodatkowe efekty zdrowotne wykazane w ramach Analizy klinicznej (spełnienie kryteriów wymienionych w itp. 15 ust. 2 pkt 1 zezwalających na utworzenie odrębnej grupy limitowej) wnioskowane jest utworzenie nowej grupy limitowej.

Wnioskodawca wnosi o refundację w ramach kategorii dostępności refundacyjnej: lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowany w ramach programu lekowego. Wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują włączenie leku do nowej grupy limitowej w ramach katalogu B. Leki dostępne w ramach programu lekowego, przy wysokości limitu finansowania na poziomie ceny hurtowej brutto.

Zgodnie z aktualną ustawą refundacyjną (art. 14 ustawy), lek mający udowodnioną skuteczność w leczeniu nowotworu złośliwego albo lek stosowany w ramach programu lekowego kwalifikuje się do kategorii odpłatności „bezpłatny” [Ustawa refundacyjna 2011].

2.5.1.2 Koszt efgartigimodu alfa

Wniosek refundacyjny, złożony przez zleceniodawcę analizy, obejmuje jedną prezentację preparatu Vyvgart®:

- 20 mg/ml, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji (fiolka zawiera 400 mg efgartigimodu alfa).

Cenę zbytu netto produktów leczniczych Vyvgart® wyznaczono w oparciu o dane przekazane przez wnioskodawcę.

Zgodnie z ChPL oraz zapisem wnioskowanego programu lekowego, zalecana dawka produktu leczniczego Vyvgart® wynosi 10 mg/kg m.c. w postaci 1-godzinnego wlewu dożylnego podawanego w cyklach raz w tygodniu przez 4 tygodnie. Kolejne cykle leczenia należy stosować zgodnie z oceną kliniczną. [ChPL Vyvgart®]. Analiza szacuje liczbę fiolek na podstawie średniej masy pacjentów z AChR-Ab+ w badaniu ADAPT, co daje średnio 2 fiołki na podanie (założenie zgodne z modelem ekonomicznym).



Tab. 6. Koszt preparatu Vyvgart®.

NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia

2.5.2 Podsumowanie pozostałych danych kosztowych wykorzystanych w modelu

Dane kosztowe w modelu analizy wpływu na budżet w miarę możliwości parametryzowano w oparciu o dane kosztowe przyjęte w modelu analizy ekonomicznej [AE Vyvgart].

Szacunki danych kosztowych przeprowadzono w arkuszu „Dane kosztowe” a następnie za pomocą formuł aplikowano w arkuszu „Inputs” analizy wpływu na budżet.

Poniżej opisano koszty zgodnie z kategoriami wyróżnionymi w arkuszu „Inputs” odpowiadającym za parametryzację modelu.

2.5.2.1 Koszty leczenia standardowego

Koszty leczenia zależne od masy ciała oraz powierzchni ciała pacjenta szacowano w oparciu o dane z badania ADAPT oraz dane zgodne z założeniami analizy ekonomicznej, tj. dla średniej m.c. pacjenta na poziomie 80,57 kg (SD = 25,17) oraz średniej powierzchni ciała wynoszącej 1,90 m².

Koszty terapii konwencjonalnej

Konwencjonalna terapia obejmuje kortykosteroidy, AChEis i NSIST. Odsetek kohorty leczonej poszczególną terapią określono na podstawie opinii ekspertów klinicznych (patrz Tab. 7)

Tab. 7. Odsetek pacjentów stosujących poszczególne terapie konwencjonalne.

Terapia	Odsetek pacjentów	Źródło
Pirydostygmina	91%	Opinia ekspertów klinicznych
Prednizolon/ Metyloprednizolon	55%	
Azatiopryna	29%	
Mykofenolan	11%	
Cyklosporyna	1%	
Metotreksat	2%	
Takrolimus	0%	
Cyklofosfamid	3%	

Dane dotyczące kosztu poszczególnych preparatów przyjęto na podstawie danych z najnowszego Obwieszczenia MZ oraz danych sprzedażowych NFZ za listopad 2022. Zużycie zasobów zdefiniowano na podstawie danych dotyczących dawkowania poszczególnych leków zdefiniowanych przez ekspertów klinicznych.

W ramach terapii standardowej uwzględniono preparaty podawane doustnie. W związku z tym, koszty podania leczenia SoC zostały pominięte w ramach opisu w rozdziale 2.5.2.3 dotyczącym podania leczenia.

Koszt terapii standardowej uwzględniony w modelu przedstawiono w poniższych tabelach (patrz Tab. 8).

Tab. 8. Koszt terapii standardowej - perspektywa NFZ.

Lek	Liczba mg/ jedn.	Liczba jedn./ opak.	Cena opakowania [PLN]	Cena mg [PLN]	Cena/ jedn. [PLN]	Liczba mg/ tydz.	Cena tygodnia stosowania [PLN]	Cena rocznego stosowania [PLN]
Azatiopryna	50,00	50	24,39	0,0098	0,4878	1 249,46	12,19	635,61
Metotreksat	2,50	30	2,64	0,0352	0,0879	20,00	0,70	36,66
Cyklosporyna	25,00	50	65,24	0,0522	1,3048	1 050,00	54,80	2 857,45
Takrolimus	3,00	30	339,00	3,7667	11,3001	112,80	424,87	22 153,73
Mykofenolan	500,00	50	39,97	0,0000	0,7994	11 812,50	0,00*	0,00*
Cyklofosfamid	50,00	50	86,61	0,0346	1,7323	490,00	16,98	885,19
Prednizolon/ Metylprednizolon	10,00	20	8,43	0,0421	0,4215	177,52	7,48	390,13
Pirydostygmina	60,00	20	14,70	0,0123	0,7351	2 205,00	27,01	1 408,60

*Koszt mykofenolanu z perspektywy NFZ został wyzerowany z powodu braku refundacji we wnioskowanym wskazaniu.

Założono, że terapia konwencjonalna będzie stosowana w sposób ciągły w całym horyzoncie czasowym, chyba że kohorta przejdzie do stanu przełomu miastenicznego, w którym otrzyma terapię ratunkową.

2.5.2.2 Koszty innych terapii

Inne terapie uwzględnione w modelu w oparciu o dane przekazane przez ekspertów klinicznych obejmowały immunoglobuliny oraz plazmaferezę.

Wielkość i cena fiołki immunoglobuliny opierają się na średnim koszcie za mg substancji w grupie limitowej „1066.0, Immunoglobulinum humanum” obliczonym na podstawie danych z obowiązującego Obwieszczenia MZ. W Polsce terapię immunoglobulinami podaje się w postaci wlewu dożylnego (IVIG) w dawce 1 875 mg/kg, co daje średnio 16 fiołek na jedno podanie; to zastosowanie zostało potwierdzone przez polskich ekspertów klinicznych.

W przypadku kosztu plazmaferezy w modelu przyjęto, że realizowana jest ona w ramach świadczenia 5.53.01.0000938 (Plazmafereza lecznicza). Koszt uwzględniony w modelu przypisano dla tego świadczenia zgodnie z danymi z załącznika nr 1c do zarządzenia nr 21/2023/DSOZ z dnia 31 stycznia 2023 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne. Liczbę plazmaferez w skali roku zdefiniowano zgodnie z danymi przekazanymi przez ekspertów klinicznych, tj. przyjęto wartość średnią dla liczby procedur (1,5 cykli) oraz założenie, że jeden cykl plazmaferezy składa się z 5 zabiegów.

Koszt innych terapii podsumowano w poniższej tabeli (patrz Tab. 9).

Tab. 9 Koszt innych terapii.

Terapia	Liczba mg/jedn.	Liczba jedn./opak.	Cena opakowania [PLN]	Cena mg [PLN]	Cena/jedn. [PLN]	Liczba jedn./podanie.	Liczba podań/rok	Cena rocznego stosowania [PLN]
Immunoglobuliny podawane dożylnie (IVIg), stosowane przewlekłe	10 000,00	1	3 189,38	0,2552**	3 189,38	16,00	13,04	665 212,62
Immunoglobuliny podawane dożylnie (IVIg), stosowane doraźnie	10 000,00	1	3 189,38	0,2552**	3 189,38	16,00	3,26	166 303,15
Plazmafereza	n.d.	n.d.	n.d.	n.d.	3 840,00	5,00	1,50	28 800,00

** Koszt IVIG oszacowano jako średni koszt preparatów w grupie limitowej 1066.0, Immunoglobulinum humanum ważony udziałem poszczególnych preparatów w grupie limitowej

2.5.2.3 Koszty podania leczenia

Koszty podania zostały określone na podstawie zarządzenia nr 160/2022/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 5 grudnia 2022 r. Efgartigimod alfa podaje się dożylnie wyłącznie w warunkach szpitalnych, dlatego model uwzględnia koszt hospitalizacji związanej z wykonaniem programu lekowego.

IVIg podaje się w warunkach szpitalnych. Oprócz czasu podawania wymaga to monitorowania pacjentów pod kątem zdarzeń niepożądanych. Co więcej, podawanie IVIG zwykle odbywa się przez wiele dni, aby zminimalizować ryzyko wystąpienia działań niepożądanych. Dlatego model uwzględnia koszt hospitalizacji związanej z wykonaniem programu lekowego pomnożony przez średni czas pozostawiania pacjenta pod obserwacją w szpitalu (5 dni).

Tab. 10. Koszt podania leczenia.

Tryb podania leku	Koszt podania [PLN]	Długość hospitalizacji [dni]
Podanie w szpitalu, IVIG	486,72	5
Podanie w szpitalu, efgartigimod alfa	486,72	1

IVIg - immunoglobuliny dożylnie (ang. intravenous immunoglobulins)

Tab. 11. Roczny koszt podania leczenia.

Leczenie	Koszt podania na rok [PLN]
IVIg (stosowane przewlekłe)	31 723,71
IVIg (stosowane doraźnie)	7 930,93
Efgartigimod alfa	7 564,87

IVIg - immunoglobuliny dożylnie (ang. intravenous immunoglobulins)

2.5.2.4 Koszty przełomów miastenicznych oraz zaostrzeń

Koszty leczenia ratunkowego obejmowały koszty zaostrzeń gMG wymagających hospitalizacji oraz koszty przełomów miastenicznych. Koszty zdefiniowano w rozbiciu na składowe koszty, które szczegółowo przedstawiono w poniższej tabeli (patrz Tab. 12).

Koszt plazmaferezy stosowanej w ramach przełomu miastenicznego zdefiniowano w modelu podobnie jak w przypadku plazmaferezy stosowanej jako odrębnej terapii, tj. jako podawanej w ramach świadczenia 5.53.01.0000938 (Plazmafereza lecznicza). Koszt uwzględniony w modelu przypisano dla tego świadczenia zgodnie z danymi z załącznika nr 1c do zarządzenia nr 21/2023/DSOZ z dnia 31 stycznia 2023 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne. Zgodnie z danymi przekazanymi przez ekspertów klinicznych przyjęto założenie, że jeden cykl plazmaferezy składa się z 5 zabiegów.

W przypadku kosztu immunoglobulin przyjęto dane kosztowe opierające się na średnim koszcie mg substancji w grupie limitowej „1066.0, Immunoglobulinum humanum” obliczonym na podstawie danych z obowiązującego Obwieszczenia MZ. Zużycie zasobów immunoglobulin stosowanych w przełomie miastenicznym przyjęto za autorami modelu ekonomicznego.

W przypadku plazmaferezy oraz terapii immunoglobulinami stosowanych w przełomie miastenicznym względny odsetek pacjentów przypisanych do wymienionych terapii zdefiniowano na podstawie rozkładu pacjentów stosujących te substancje w połączeniu z leczeniem standardowym (36,51% oraz 63,49% odpowiednio w przypadku plazmaferezy oraz immunoglobulin).

Koszt kortykosteroidów podawanych dożylnie oraz koszt związany ze zwiększeniem ich dawki oszacowano w oparciu o koszt za mg według danych z najnowszego Obwieszczenia MZ oraz na danych sprzedażowych NFZ za listopad 2023. Zużycie zasobów zdefiniowano przy pomocy opinii ekspertów klinicznych.

Koszty oraz częstość wizyt specjalistycznych zdefiniowano na jednakowym poziomie dla kryzysów miastenicznych oraz zaostrzeń choroby. Częstość wizyt przyjęto jako założenie o potrzebie odbycia jednej wizyty specjalistycznej na epizod zaostrzenia gMG lub przełomu miastenicznego. Koszt wizyty u neurologa zdefiniowano jako koszt świadczenia 5.30.00.0000012 (W12 Świadczenia specjalistyczne 2-go typu) zgodnie z informacjami zawartymi w załączniku nr 1 do zarządzenia nr 12/2023/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 20 stycznia 2023 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna.

Koszty hospitalizacji podobnie jak koszty wizyt specjalistycznych zostały przyjęte w modelu na tym samym poziomie zarówno dla przełomu miastenicznego jak i zaostrzeń choroby. Założono, że hospitalizacja w przypadku wystąpienia przełomu miastenicznego obejmuje 5 dni na oddziale Anestezjologii i Intensywnej Terapii (OAiT) oraz 7 dni hospitalizacji związanej z niewydolnością oddechową. Wartość punktową hospitalizacji przyjęto zgodnie z informacjami zawartymi w załączniku nr 1ts do zarządzenia nr 21/2023/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 31 stycznia 2023 r. dla świadczenia 5.53.01.000503 (Leczenie w OAiT dla dorosłych - ocena według skali TISS-28 - 38pkt) oraz w załączniku nr 1a do zarządzenia nr 21/2023/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 31 stycznia 2023 r. w przypadku świadczenia 5.51.01.0004052 (Niewydolność oddechowa). Liczbę dni dla poszczególnych hospitalizacji przyjęto na podstawie danych literaturowych, tj. publikacji

Kiphuth 2010 oraz danych ze statystyk NFZ. W przypadku hospitalizacji związanej z wystąpieniem zaostrzenia gMG przyjęto koszt dwóch grup JGP: A32F CHOROBY MIĘŚNI < 66 R.Ż. i A32E CHOROBY MIĘŚNI > 65 R.Ż. uśredniony liczbą hospitalizacji. Średnią liczbę dni hospitalizacji również zważono liczbą hospitalizacji. Wartość punktową świadczenia przyjęto zgodnie z informacjami zawartymi w załączniku nr 1a do zarządzenia nr 21/2023/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 31 stycznia 2023 r. Pozostałe kategorie kosztów zostały wyzerowane ze względu fakt, że objęte zostały w ramach kosztów hospitalizacji.

Podsumowanie kosztów przełomu miastenicznego oraz zaostrzenia choroby w rozbiciu na kategorie kosztów przedstawiono w poniższej tabeli (patrz Tab. 12).

Tab. 12. Koszt przełomu miastenniczego oraz zaostrzenia.

Składowa kosztów	Przełom miastenniczny				Zaostrzenie			
	Odsetek pacjentów	Liczba jednostek (n)	Koszt jednostkowy [PLN]	Koszt całkowity [PLN]	Odsetek pacjentów (%)	Liczba jednostek (n)	Koszt jednostkowy [PLN]	Koszt całkowity [PLN]
Plazmafereza	36,5%	5,00	3 840,00	7 009,10	0,0%	n.d.	n.d.	0,00
Immunoglobuliny podawane dożylnie (IVIg)	63,5%	5,00	2 551,50	8 100,28	0,0%	n.d.	n.d.	0,00
Zwiększona dawka kortykosteroidów	100,0%	1124,55	0,42	473,97	100,0%	1562,15	0,42	658,41
Kortykosteroidy podawane dożylnie	0,0%	2,00	0,42	0,00	0,0%	n.d.	n.d.	0,00
Wizyta u neurologa (pierwsza wizyta)	100,0%	1,00	75,00	75,00	100,0%	1,00	75,00	75,00
Wizyta u neurologa (kolejne wizyty)	0,0%	21,00	44,00	0,00	0,0%	21,00	44,00	0,00
Wizyta pielęgniarska	0,0%	28,00	31,09	0,00	0,0%	28,00	31,09	0,00
Fizjoterapia (pierwsza wizyta)	0,0%	4,00	28,06	0,00	0,0%	4,00	28,06	0,00
Fizjoterapia (kolejne wizyty)	0,0%	10,00	28,06	0,00	0,0%	10,00	28,06	0,00
Karetka*	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Opieka w nagłych wypadkach*	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Hospitalizacja	100,0%	1,00	32 195,00	32 195,00	100,0%	1,00	4 068,82	4 068,82
Intensywna opieka / wsparcie narządów**	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Ocena i monitorowanie tlenu**	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00

Składowa kosztów	Przełom miasteniczny				Zaostrzenie			
	Odsetek pacjentów	Liczba jednostek (n)	Koszt jednostkowy [PLN]	Koszt całkowity [PLN]	Odsetek pacjentów (%)	Liczba jednostek (n)	Koszt jednostkowy [PLN]	Koszt całkowity [PLN]
Urządzenia CPAP i BiPAP**	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Ocena nieinwazyjnego wsparcia wentylacji**	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Niewydolność oddechowa**	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Tracheostomia**	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Rurka do karmienia / Gastrostomia**	0,0%	1,00	0,00	0,00	0,0%	1,00	0,00	0,00
Koszt całkowity [PLN]				47 853,35				4 802,23

*Wartość zryczałtowana; **Koszty uwzględnione w koszcie hospitalizacji

2.5.2.5 Koszty monitorowania leczenia/rutynowej opieki

Odsetki pacjentów objętych poszczególnymi świadczeniami w ramach monitorowania leczenia przyjęto zgodnie z danymi zdefiniowanymi przez ekspertów klinicznych.

Koszt wizyty u fizjoterapeuty oszacowano na podstawie wagi punktowej świadczenia 05.1310.508.02 (fizjoterapia ambulatoryjna) przy czym wycenę punktu rozliczeniowego przyjęto w oparciu o świadczenia w każdym województwie (po jednej umowie o największej wartości z każdego województwa za 2022 r.). Jednostkowy roczny koszt wyliczono dla liczby procedur w roku zgodnie z danymi pochodzącymi od ekspertów klinicznych, tj. przyjęto, 23,75 zabiegów fizjoterapii w roku.

W przypadku wizyt u neurologa koszt zdefiniowano jako koszt świadczenia 5.30.00.0000012 (W12 Świadczenia specjalistyczne 2-go typu) zgodnie z informacjami zawartymi w załączniku nr 1 do zarządzenia nr 12/2023/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 20 stycznia 2023 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna. Założono, że w ramach świadczenia W12 pacjenci mają wykonywane badania laboratoryjne do monitorowania działań niepożądanych leków immunosupresyjnych (zgodnie z opinią eksperta klinicznego). Jednostkowy roczny koszt wyliczono dla liczby procedur w roku zgodnie z danymi pochodzącymi od ekspertów klinicznych, tj. przyjęto, 4,88 wizyt w roku.

Pozostałe kategorie kosztów zostały wyzerowane w modelu analizy wpływu na budżet ze względu fakt, że obejmują zryczałtowany koszt oraz w celu ujednoczenia kosztów z założeniami modelu ekonomicznego.

Podsumowanie kosztów wchodzących w skład monitorowania leczenia przedstawiono w rozbiciu na kategorie kosztów przedstawiono w poniższej tabeli (patrz Tab. 13).

Tab. 13. Koszt monitorowania leczenia.

Składowa kosztów	Przełom miasteczniczy		
	Odsetek pacjentów	Koszt jednostkowy/rok [PLN]	Koszt całkowity [PLN]
Fizjoterapia	8,8%	666,49	58,32
Wizyta u neurologa	95,0%	365,63	347,34
Koszt całkowity [PLN]			405,66

2.5.2.6 Koszty leczenia zdarzeń niepożądanych

W analizie uwzględniono koszty zużycia opieki zdrowotnej dla najczęściej występujących ($\geq 2\%$ pacjentów) zdarzeń niepożądanych stopnia 3+.

Koszty leczenia zdarzeń niepożądanych zostały wyznaczone w oparciu o informacje raportowane w systemie Jednorodnych Grup Pacjentów.

Szczegółowe informacje z zakresu szacowania kosztów leczenia zdarzeń niepożądanych przedstawiono w zakładce *Dane kosztowe*, w załączonym modelu analizy wpływu na budżet.

W poniższej tabeli (patrz Tab. 14) podsumowano koszty leczenia zdarzeń niepożądanych. Każdemu ze zdarzeń niepożądanych leczonych w ramach hospitalizacji przypisano

odpowiednią grupę JGP, na podstawie której określono czas hospitalizacji w przypadku leczenia poszczególnych AE (ang. *adverse event*). W przypadku uwzględnienia kilku grup JGP, oszacowano średni czas leczenia, ważony liczbą hospitalizacji w danej grupie JGP.

Tab. 14. Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych.

Zdarzenie niepożądane	Grupa JGP	Liczba hospitalizacji w danej grupie w 2020 roku	Liczba dni hospitalizacji (mediana) w 2020 roku	Koszty (koszt grup JGP z zarządzenia nr 21/2023/DSOZ załącznik 1)	Koszt - wg leczenia AD 3+
Infekcja	S56 POSOCZNICA O CIĘŻKIM PRZEBIEGU	17 381	12	8 266,00 zł	8 266,00 zł
Astenia (zmęczenie)	A87 INNE CHOROBY UKŁADU NERWOWEGO	28 400	4	3 554,00 zł	3 554,00 zł
Zaburzenia sercowo-naczyniowe (w tym zakrzepica)	E55 ZAKRZEPICA ŻYL GŁĘBOKICH	3 702	5	2 802,00 zł	5 754,06 zł
	Q66 CHOROBY NACZYŃ	28 759	4	3 154,00 zł	
	E02 INNE ZABIEGI KARDIOCHIRURGICZNE > 17 R.Ż. *	1 255	7	22 503,00 zł	
	E04 POMOSTOWANIE NACZYŃ WIEŃCOWYCH Z PLASTYKĄ *	279	14	42 057,00 zł	
	E10 OZW - DIAGNOSTYKA INWAZYJNA *	9 056	4	4 161,00 zł	
	E11 OZW - LECZENIE INWAZYJNE DWUETAPOWE > 3 DNI *	10 663	5	15 735,00 zł	
	E12G OZW - LECZENIE INWAZYJNE *	38 091	4	9 898,00 zł	
	E15 OZW - LECZENIE INWAZYJNE > 7 DNI Z PW *	3 196	9	13 742,00 zł	
	E16 OZW > 69 R.Ż. LUB Z PW	8 240	5	3 400,00 zł	
	E17G OZW - LECZENIE ZACHOWAWCZE	4 042	3	2 941,00 zł	
	E23G ANGIOPLASTYKA WIEŃCOWA Z IMPLANTACJĄ JEDNEGO STENTU *	24 889	2	5 245,00 zł	
	E24G ANGIOPLASTYKA WIEŃCOWA Z IMPLANTACJĄ NIE MNIEJ NIŻ 2 STENTÓW LUB WIELONACZYNIOWA *	14 706	2	7 718,00 zł	
	E26 ANGIOPLASTYKA WIEŃCOWA BALONOWA *	2 293	2	4 459,00 zł	
	E27 KORONAROGRAFIA I INNE ZABIEGI INWAZYJNE *	61 298	1	2 419,00 zł	
E29 ANGIOPLASTYKA WIEŃCOWA BALONOWA (DEB) *	1 225	2	6 682,00 zł		
Zaburzenia powiek	B98A LECZENIE ZACHOWAWCZE OKULISTYCZNE > 17 R.Ż.	8 874	4	2 339,00 zł	2 339,00 zł
Miałgja	A32E CHOROBY MIĘŚNI > 65 R.Ż.	556	7	4 902,00 zł	4 068,82 zł
	A32F CHOROBY MIĘŚNI < 66 R.Ż.	881	5	3 543,00 zł	
Ból głowy lub ból proceduralny	A59 BÓLE GŁOWY	7 083	4	1 712,00 zł	1 712,00 zł
AE związane z przewodem pokarmowym	F46 CHOROBY JAMY BRZUSZNEJ	48 418	3	1 830,00 zł	1 830,00 zł
Inne	S55E GORĄCZKA NIEJASNEGO POCHODZENIA > 65 R.Ż.	480	6	2 206,00 zł	1 722,79 zł

Zdarzenie niepożądane	Grupa JGP	Liczba hospitalizacji w danej grupie w 2020 roku	Liczba dni hospitalizacji (mediana) w 2020 roku	Koszty (koszt grup JGP z zarządzenia nr 21/2023/DŚOZ załącznik 1)	Koszt - wg leczenia AD 3+
	S55F GORĄCZKA NIEJASNEGO POCHODZENIA < 66 R.Ż.	1801	3	1 594,00 zł	

AE - zdarzenie niepożądane (ang. *adverse event*); JGP - Jednorodne Grupy Pacjentów

2.6 Scenariusze analizy

2.6.1 Scenariusz istniejący

Scenariusz istniejący odpowiada ilościowej prognozie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy.

W scenariuszu istniejącym założono, że we wnioskowanej populacji nie jest refundowane leczenie wnioskowaną technologią.

W scenariuszu istniejącym uwzględniono zmienność liczebności populacji docelowej.

Powyższy parametr posłużył do zdefiniowania trzech wariantów scenariusza istniejącego: najbardziej prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego – patrz Tab. 15. Szczegółowe uzasadnienie zakresu zmienności testowanych parametrów przedstawiono w poprzednich rozdziałach (2.1.2).

Tab. 15. Zestawienie założeń wariantów scenariusza istniejącego.

Zmienna	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie parametryzacji

2.6.2 Scenariusze nowe

Warianty scenariusza nowego odpowiadają ilościowej prognozie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku,

z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy.

Scenariusz nowy zdefiniowano w niniejszej analizie jako wprowadzenie wnioskowanej technologii do refundacji.

W scenariuszu nowym uwzględniono zmienność liczebności populacji docelowej.

Powyższe parametry posłużyły do zdefiniowania trzech wariantów scenariusza istniejącego: najbardziej prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego – patrz Tab. 16. Uzasadnienie zakresu zmienności testowanych parametrów przedstawiono w poprzednich rozdziałach (2.1.2).

Tab. 16. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.

Zmienna	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie parametryzacji
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

3 Wyniki

3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ

Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku odpowiadają w przybliżeniu szacunkom [REDACTED]

3.2 Wariant najbardziej prawdopodobny

Koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED]
[REDACTED] Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

Tab. 17. Wariant najbardziej prawdopodobny, perspektywa NFZ.

	2021		2022		2023	
	Plan	Prog.	Plan	Prog.	Plan	Prog.
Wydatki na świadczenia						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń podstawowych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń dodatkowych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń specjalnych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń innych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń specjalnych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń innych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń podstawowych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń dodatkowych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń specjalnych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń innych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń specjalnych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń innych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń dodatkowych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń specjalnych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń innych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń specjalnych						
Wydatki na świadczenia w ramach świadczeń innych						

	[REDACTED]		[REDACTED]		[REDACTED]	
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

3.3 Wariant minimalny

Koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tab. 18 Wariant minimalny, perspektywa NFZ.

	[REDACTED]		[REDACTED]		[REDACTED]	
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

3.4Wariant maksymalny

Koszty refundacji terapii w populacji docelowej [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tab. 19 Wariant maksymalny, perspektywa NFZ.

	[REDACTED]		[REDACTED]		[REDACTED]	
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

4 Ograniczenia i dyskusja

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w leczeniu pacjentów z uogólnioną postacią miastenii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholino (AChR-Ab+), leczonych glikokortykosteroidem w dużych dawkach w terapii skojarzonej z innym lekiem immunosupresyjnym.

W analizie założono finansowanie leku efgartigimod alfa (Vyvgart®) w katalogu B – leki dostępne w ramach programu lekowego [REDACTED]

W niniejszej analizie wykorzystano globalny model analizy wpływu na budżet zaimplementowany w programie MS Excel, dostarczony przez wnioskodawcę. Model adaptowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie polskich danych kosztowych oraz wielkości populacji. W analizie uwzględniono koszty związane z nabyciem i podaniem leków, monitorowaniem pacjenta, powikłaniami związanymi z przewlekłym zastosowaniem kortykosteroidów, zdarzeniami niepożądanymi występującymi podczas leczenia, leczeniem zaostrzeń oraz kryzysów miastenicznych. Koszty szacowano w oparciu o dane NFZ i dane z aktualnego obwieszczenia MZ. W przypadku kosztu efgartigimodu alfa wykorzystano dane przekazane przez wnioskodawcę. Zużycia zasobów szacowano w oparciu o dane literaturowe (m.in. dane przedstawione w ChPL) oraz dane przekazane przez ekspertów klinicznych.

Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w którym oszacowano koszty leczenia pacjentów przy założeniu braku refundacji wnioskowanej technologii, oraz scenariusze nowe (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w których szacowano koszty terapii przy założeniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii lekowej. Poszczególne warianty scenariusza istniejącego i nowego różnią się liczebnością populacji kwalifikującej się do leczenia analizowanymi substancjami. Szacowanie liczebności populacji docelowej przeprowadzono w oparciu o dane z piśmiennictwa oraz opinie pozyskane od ekspertów. [REDACTED]

Dla wariantu najbardziej prawdopodobnego z perspektywy NFZ koszty refundacji wnioskowanej terapii w populacji docelowej [REDACTED]

[REDACTED] Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

Dla wariantu minimalnego z perspektywy NFZ koszty refundacji wnioskowanej terapii w populacji docelowej [REDACTED]

[REDACTED]. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

Dla wariantu maksymalnego z perspektywy NFZ koszty refundacji wnioskowanej terapii w populacji docelowej [REDACTED]

[REDACTED] Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie [REDACTED]

W zakresie ograniczeń analizy należy wymienić następujące kwestie:

- Niepewność dotyczącą liczebności populacji docelowej. Liczebność populacji docelowej oszacowano w oparciu o wiele źródeł, w tym również opinie ekspertów klinicznych.
- Niepewność dotycząca rzeczywistego odsetka pacjentów spełniających kryteria do leczenia, u których klinicyści widzą potrzebę użycia efgartigimodu alfa i go użyją [REDACTED]
- Niepewność dotycząca danych kosztowych, których część była oparta na opiniach ekspertów. Wpływ ekspertów na dane kosztowe wiązał się m.in z określeniem dawkowania czy częstości podawania określonych preparatów należących do SoC.
- Część parametrów wejściowych w modelu analizy wpływu na budżet została zmieniona w celu ujednoczenia zużycia zasobów i kosztów poszczególnych terapii z danymi uwzględnionymi w modelu ekonomicznym.

5 Aspekty etyczne, społeczne, prawne, wpływ na organizację udzielania świadczeń

Nie zidentyfikowano żadnego istotnego wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla omawianej technologii na aspekty etyczne, społeczne, prawne a także organizację udzielania świadczeń.

6 Analiza racjonalizacyjna

6.1 Założenia analizy

Analiza racjonalizacyjna przedkładana jest w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji. Analiza ta powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet.

W zakresie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, można zidentyfikować następujące rozwiązania.

1. Likwidacja jednej lub więcej grup limitowych:
 - a. wycofanie z listy leków refundowanych ze środków publicznych leków stanowiących grupę limitową;
 - b. wycofanie z listy środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych ze środków publicznych środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego stanowiących grupę limitową;
 - c. wycofanie z listy wyrobów medycznych refundowanych ze środków publicznych wyrobów medycznych stanowiących grupę limitową.
2. Zmiana definicji jednej lub więcej grup limitowych w zakresie:
 - a. redukcji liczby preparatów objętych grupą limitową (wycofanie co najmniej jednego preparatu) skutkującej zmianą leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, który stanowi podstawę limitu w danej grupie limitowej na lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny o niższej cenie (w konsekwencji – redukcja limitu detalicznego);
 - b. redukcji liczby preparatów objętych grupą limitową (wycofanie co najmniej jednego preparatu) nieskutkującej zmianą leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, stanowiącego podstawę limitu w danej grupie limitowej (brak redukcji limitu detalicznego);
 - c. utworzenia nowej grupy limitowej, w skład której weszłyby leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyroby medyczne przyporządkowane w chwili obecnej do co najmniej dwóch odrębnych grup limitowych, skutkujące obniżeniem limitu detalicznego dla co najmniej jednej dotychczasowej grupy limitowej.

3. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego).
4. Redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych niestanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych w sposób, który spowodowałby, że leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyroby medyczne, których dotyczyłaby redukcja ceny detalicznej, stałyby się podstawą limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego).
5. Zmiana poziomu odpłatności dla pacjenta dla grupy limitowej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych na wyższy w stosunku do obecnie obowiązującego.

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

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

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie pacjentów należą rozwiązania opisane w punktach 1 i 5. Również rozwiązanie opisane w punkcie 2c niesie ze sobą znaczne ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta. Należy podkreślić, że Art. 11, Ust. 11 pkt. 1a, 1b Ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych stanowi, że:

Minister właściwy do spraw zdrowia odmawia wydania decyzji, o której mowa w ust. 10 (tj. skrócenie okresu obowiązywania decyzji dot. refundacji - przyp. autorów), jeżeli:

- 1) jej wydanie spowodowałoby:
 - a) istotne ograniczenie dostępności świadczeniobiorców do leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych,
 - b) znaczny wzrost odpłatności lub dopłat świadczeniobiorców (...)

W związku z powyższym, należy przyjąć, że rozwiązania opisane w punktach 1, 5 oraz 2c, przenoszące bezpośrednio obciążenia na pacjentów są mało prawdopodobne.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie podmiotów odpowiedzialnych należy jedynie rozwiązanie opisane w punkcie 2b, przy czym należy podkreślić, że w tym przypadku również istnieje ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta (np. w przypadku, w którym pacjenci są przywiązani do leku, który został skreślony z listy refundacyjnej).

Pozostałe zaproponowane rozwiązania (pkt. 2a, 3 i 4) prowadzą w konsekwencji do obniżenia limitu w grupie limitowej, przy czym konsekwencje (wzrost kosztów, tj. w tym wypadku

redukcja zysków) w założeniu powinny dotyczyć głównie firm farmaceutycznych zakładając, że pacjenci z definicji będą wybierali leki o niższych cenach. W przypadku istnienia innego niż cena mechanizmu wpływającego na preferencje pacjentów, przywiązanie do poszczególnych preparatów, których ceny są wyższe od cen preparatów stanowiących limit w grupie, przy obniżonym limicie będzie skutkowało zwiększeniem kosztów również po stronie pacjenta (dotyczy to szczególnie rozwiązań opisanych w pkt. 2a i 3).

Podsumowując, należy stwierdzić, że opracowanie mechanizmu, który spowoduje uwolnienie środków publicznych bez negatywnych konsekwencji dla pacjentów jest stosunkowo trudne. Jedynym mechanizmem, który nie powinien wpływać na wzrost kosztów po stronie pacjentów, jest obniżenie cen wszystkich preparatów refundowanych w obrębie danej grupy limitowej. Należy przy tym podkreślić, że obniżenie cen wszystkich preparatów może nieproporcjonalnie w stosunku do cen detalicznych niektórych preparatów zmniejszyć limit w stopniu skutkującym wzrostem kosztów po stronie pacjenta.

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

1. *Minister właściwy do spraw zdrowia uchyla decyzję administracyjną o objęciu refundacją leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, w przypadku:*
 - 1) *stwierdzenia braku deklarowanej skuteczności terapeutycznej;*
 - 2) *stwierdzenia ryzyka stosowania niewspółmiernego do efektu terapeutycznego;*
 - 3) *podważenia wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w art. 12 pkt 3-10;*
 - 4) *gdy zobowiązanie, o którym mowa w art. 25 pkt 4, nie zostanie dotrzymane w zakresie dotyczącym zapewnienia ciągłości dostaw lub rocznej wielkości dostaw, i nastąpi niezaspokojenie potrzeb świadczeniobiorców.*

Minister Zdrowia podejmuje również decyzję o skróceniu czasu obowiązywania decyzji o refundacji lub zmianie ceny urzędowej w oparciu o wniosek, do którego złożenia uprawniony jest Wnioskodawca (podmiot odpowiedzialny, przedstawiciel podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne, wytwórca wyrobów medycznych, jego autoryzowany przedstawiciel, dystrybutor albo importer, w rozumieniu ustawy z dnia 20 maja 2010 r. o wyrobach medycznych (Dz. U. Nr 107, poz. 679), a także podmiot działający na rynku spożywczym) – Art. 24 Ustawy:

1. *Wnioskodawca może złożyć do ministra właściwego do spraw zdrowia wniosek o:*

- 1) objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego;
- 2) podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego objętego refundacją;
- 3) obniżenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego objętego refundacją;
- 4) ustalenie albo zmianę urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, o którym mowa w art. 6 ust. 1 pkt 4.;
- 5) skrócenie okresu obowiązywania decyzji, o której mowa w art. 11 ust. 1 albo ust. 6.

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

Kolejnym problemem związanym z wykonaniem analizy racjonalizacyjnej jest ograniczona wielkość rynku, z którego można uwalniać środki publiczne, zarówno w aspekcie całkowitego rynku leków, jak i w aspekcie rynku poszczególnych grup terapeutycznych. W przypadku braku identyfikacji możliwości uwolnienia środków w obrębie rynku dla wskazania, w którym składany jest wniosek refundacyjny, należy zidentyfikować oszczędności w obrębie rynku innych grup terapeutycznych [Ustawa refundacyjna 2011].

6.2 Przedmiot analizy

Przedmiotem analizy jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów płatnika publicznego związanego z refundacją preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w populacji dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastenii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholino (AChR-Ab+), leczonych glikokortykosteroidem w dużych dawkach w terapii skojarzonej z innym lekiem immunosupresyjnym.

6.3 Metodyka



[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

6.4 Wyniki analizy

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]		[REDACTED]		[REDACTED]	
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]		[REDACTED]		[REDACTED]	
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

7 Wnioski

Analiza wykazała, że dostęp do terapii efgartigimodem alfa w populacji dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastonii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholiny (AChR-Ab+), [REDACTED]

[REDACTED] będzie wiązać się [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Należy

jednocześnie podkreślić, że pozytywna decyzja refundacyjna dla efgartigimodu alfa wpłynie na poszerzenie możliwości terapeutycznych w przypadku dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastonii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholiny (AChR-Ab+), [REDACTED]

[REDACTED]

Spis rysunków

Rys. 1 Oszacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana - rozpowszechnienie.	9
Rys. 2 Oszacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana - chorobowość.	10
Rys. 3 Oszacowanie liczebności populacji docelowej - rozpowszechnienie (wariant najbardziej prawdopodobny).	11
Rys. 4 Oszacowanie liczebności populacji docelowej - chorobowość (wariant najbardziej prawdopodobny).	11

Spis tabel

Tab. 1. Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.	10
Tab. 2. Liczebność populacji docelowej w horyzoncie analizy.	12
Tab. 3. Liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana.	12
Tab. 4. Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.	13
Tab. 5. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.	13
Tab. 6. Koszt preparatu Vyvgart®.	16
Tab. 7. Odsetek pacjentów stosujących poszczególne terapie konwencjonalne.	17
Tab. 8. Koszt terapii standardowej - perspektywa NFZ.	18
Tab. 9 Koszt innych terapii.	19
Tab. 10. Koszt podania leczenia.	19
Tab. 11. Roczny koszt podania leczenia.	19
Tab. 12. Koszt przełomu miastenicznego oraz zaostrzenia.	22
Tab. 13. Koszt monitorowania leczenia.	24
Tab. 14. Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych.	26
Tab. 15. Zestawienie założeń wariantów scenariusza istniejącego.	27
Tab. 16. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.	28
Tab. 17. Wariant najbardziej prawdopodobny, perspektywa NFZ.	30
Tab. 18 Wariant minimalny, perspektywa NFZ.	33
Tab. 19 Wariant maksymalny, perspektywa NFZ.	36
.....	45
.....	46
.....	46

Bibliografia

- AE Vyvgart** Vyvgart (efgartigimod alfa) w leczeniu miastenii. Analiza ekonomiczna, Warszawa 2022.
- AEK Vyvgart** Vyvgart (efgartigimod alfa) w leczeniu miastenii. Analiza efektywności klinicznej, Warszawa 2022.
- AOTMiT 2016** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), Wersja 3, 2016.
- APD Vyvgart** Vyvgart (efgartigimod alfa) w leczeniu miastenii. Analiza problemu decyzyjnego, Warszawa 2022.
- ChPL MabThera** Charakterystyka Produktu Leczniczego MabThera, https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/mabthera-epar-product-information_pl.pdf, dostęp online: 2022.11.25
- ChPL Vyvgart** Charakterystyka Produktu Leczniczego Vyvgart®, https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/vyvgart-epar-product-information_pl.pdf, dostęp online: 2022.10.19.
- GABI 2018b** Dostęp online: <http://gabi-journal.net/patent-expiry-dates-for-biologics-2018-update.html>
- GUS 2020** Rocznik Demograficzny 2021; dostęp online: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2021,3,15.html>
- Kiphuth 2010** Kiphuth IC, Schellinger PD, Köhrmann M, Bardutzky J, Lücking H, Kloska S, Schwab S, Huttner HB. Predictors for good functional outcome after neurocritical care. Crit Care. 2010;14(4):R136.
- Rozporządzenie MZ 2021** Rozporządzenie z dnia 8 stycznia 2021 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.
- Sobieszczuk 2021** Sobieszczuk E, Napiórkowski Ł, Szczudlik P, Kostera-Pruszczyk A. Myasthenia Gravis in Poland: National Healthcare Database Epidemiological Study. Neuroepidemiology. 2021 Feb 19:1-8
- Sprawozdanie NFZ 2021** <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-32022iv,6592.html>
- Ustawa refundacyjna 2011** 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).