



***Analiza racjonalizacyjna dla produktu
leczniczego Repatha® (ewolokumab)
w leczeniu hipercholesterolemii
rodzinnej u dzieci i młodzieży
od 10 do 18 roku życia***

Styczeń 2023

Wersja 1.0

Analizę przeprowadzono na zlecenie:

Amgen Biotechnologia Sp. z o.o.
ul. Puławska 145
02-715 Warszawa

Wykonawca opracowania:

EconMed Europe Sp. z o.o.
Adres korespondencyjny:
ul. Królewska 21
32-087 Wola Zachariaszowska
www.econmed.eu

Autorzy:

██████████
██████████

Data zakończenia opracowania:

Grudzień 2022

Konflikt interesów:

Autorzy raportu deklarują brak konfliktu interesów.

Spis treści

| | | |
|-----------|-----------------------------------|-----------|
| 1. | Streszczenie | 4 |
| 2. | Cel analizy | 5 |
| 3. | Metodologia | 6 |
| 4. | Wyniki analizy | 9 |
| 5. | Wnioski..... | 10 |
| 6. | Bibliografia..... | 11 |
| 7. | Spis tabel i wykresów..... | 12 |

1. Streszczenie

Cel analizy

Celem analizy racjonalizacyjnej było przedstawienie rozwiązania dotyczącego refundacji, którego wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów inkrementalnych wykazanych w analizie wpływu na budżet, spowodowanych pozytywną decyzją refundacyjną dla produktu leczniczego Repatha w leczeniu hipercholesterolemii rodzinnej u dzieci i młodzieży od 10 do 18 roku życia.

Metodologia

W ramach analizy racjonalizacyjnej przedstawiono rozwiązanie wykazujące oszczędności płatnika publicznego, przewyższające koszty inkrementalne związane z pozytywną decyzją refundacyjną produktu Repatha. Proponowane rozwiązanie opierało się na wyszukiwaniu leków, które w najbliższym czasie utracą wyłączność rynkową. Na podstawie przeprowadzonej analizy zidentyfikowano produkt leczniczy Aubagio, tabletki powlekane, 14 mg, który dnia 26 sierpnia 2023 roku utraci wyłączność rynkową. Według przepisów ustawy z dnia 12 maja 2011 o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych po wygaśnięciu okresu wyłączności rynkowej urzędowa cena zbytu nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu określonej w poprzedniej decyzji administracyjnej o objęciu refundacją. Oszacowano prognozę wartości refundacji produktu Aubagio w trzyletnim horyzoncie czasowym (2024-2026). W scenariuszu istniejącym założono brak zmiany kwoty refundacji produktu Aubagio w latach 2024-2026 (po upływie wyłączności rynkowej), natomiast w scenariuszu nowym założono, że kwota refundacji w latach 2024-2026 zostanie obniżona o 25% jako konsekwencja obniżenia urzędowej ceny zbytu netto o 25%. Na podstawie różnicy kwot refundacji pomiędzy scenariuszami analizy obliczono wysokość oszczędności płatnika publicznego.

Wyniki analizy i wnioski

Całkowite koszty inkrementalne wynikające z wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej dla produktu Repatha przedstawione w analizie wpływu na budżet (wariant z RSS) są równe [REDAKTOWANE] natomiast całkowita kwota oszczędności wynikająca z zaproponowanego rozwiązania jest równa 48 280 658 zł. Porównując wygenerowane oszczędności z kosztami inkrementalnymi wykazanymi w BIA, stwierdzono, że prognozowana kwota oszczędności jest wystarczająca, aby skompensować dodatkowe koszty związane z wydaniem pozytywnej decyzji refundacyjnej dla produktu leczniczego Repatha.

2. Cel analizy

Celem analizy racjonalizacyjnej było przedstawienie rozwiązania dotyczącego refundacji, którego wdrożenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wykazanych w analizie wpływu na budżet (BIA) dla produktu leczniczego Repatha w leczeniu hipercholesterolemii rodzinnej u dzieci i młodzieży od 10 do 18 roku życia.

Konieczność przeprowadzania analizy racjonalizacyjnej wynika z przepisów ustawy z dnia 12 maja 2011 o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych [1], według których wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, zawiera analizę racjonalizacyjną. Jest ona przedkładana w przypadku gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

3. Metodologia

Według przepisów ustawy z dnia 12 maja 2011 o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych [1] po wygaśnięciu okresu wyłączności rynkowej leku, jego urzędowa cena zbytu nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu określonej w poprzedniej decyzji administracyjnej o objęciu refundacją. Oznacza to, że po wygaśnięciu okresu wyłączności, generowane są oszczędności dla płatnika wynikające z obniżenia urzędowej ceny zbytu netto o 25%. W niniejszej analizie racjonalizacyjnej wykorzystano to rozwiązanie, aby wykazać potencjalne oszczędności dla płatnika publicznego (budżet Narodowego Funduszu Zdrowia) pozwalające na pokrycie dodatkowych kosztów refundacji produktu leczniczego Repatha w leczeniu hipercholesterolemii rodzinnej u dzieci i młodzieży od 10 do 18 roku życia.

Na podstawie danych *European Medicines Agency* [2] zidentyfikowano produkty lecznicze, które w najbliższym czasie utracą wyłączność rynkową. Następnie w obwieszczeniu Ministra Zdrowia (MZ) z dnia 21 grudnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2023 r [3], zweryfikowano, które spośród wyselekcjonowanych produktów leczniczych są refundowane w ramach programów lekowych. Skupiono się na programach lekowych, w których znajdują się co najmniej dwie substancje czynne. Na podstawie przeprowadzonej analizy zidentyfikowano produkt leczniczy Aubagio, tabletki powlekane, 14 mg, który dnia 26 sierpnia 2023 roku utraci wyłączność rynkową. Szczegółowe dane wybranego produktu leczniczego zawarte w obwieszczeniu MZ [3] zamieszczono w tabeli poniżej.

Tabela 1. Dane produktu Aubagio, tabletki powlekane, 14 mg

| Nazwa, postać i dawka leku | Substancja czynna | Zawartość opakowania | Numer GTIN lub inny kod jednoznacznie identyfikujący produkt | Grupa limitowa | Oznaczenie załącznika zawierającego zakres wskazań objętych refundacją wg ICD 10 |
|--------------------------------|-----------------------------|----------------------|--|------------------------------|--|
| Aubagio, tabl. powl., 14 mg | Teriflunomidum | 28 szt. | 05909991088170 | 1159.0, Teryflunomid | B.29. |
| Termin wejścia w życie decyzji | Okres obowiązywania decyzji | Urzędowa cena zbytu | Cena hurtowa brutto | Wysokość limitu finansowania | Poziom odpłatności |
| 2021-05-01 | 2 lata | 2991,60 | 3141,18 | 3141,18 | bezpłatny |

Produkt Aubagio jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.29. Leczenie Chorych na Stwardnienie Rozsiane (ICD-10: G35), w ramach którego refundowanych jest także 15 innych substancji czynnych: alemtuzumabum, cladribinum, dimethylis fumaras, fingolimodum, glatirameri acetat, interferon beta-1b, interferonum beta-1a, natalizumabum, ocrelizumabum, ofatumumabum, ozanimodum, peginterferonum alfa-2a, peginterferonum beta-1a, ponesimodum oraz siponimodum,

W kolejnym kroku oszacowano prognozę wartości refundacji produktu Aubagio w latach 2023-2026. W tym celu zestawiono kwotę refundacji produktu Aubagio w latach 2018-2022 zawartych w raportach refundacyjnych [4] (Tabela 2). Za rok 2022 dostępne są obecnie dane do września, z tego powodu założono, że refundacja rozkłada się równomiernie we wszystkich miesiącach roku i przeskalowano dane z 9 miesięcy na okres pełnego roku.

Tabela 2. Kwoty refundacji produktu Aubagio w latach 2018-2022

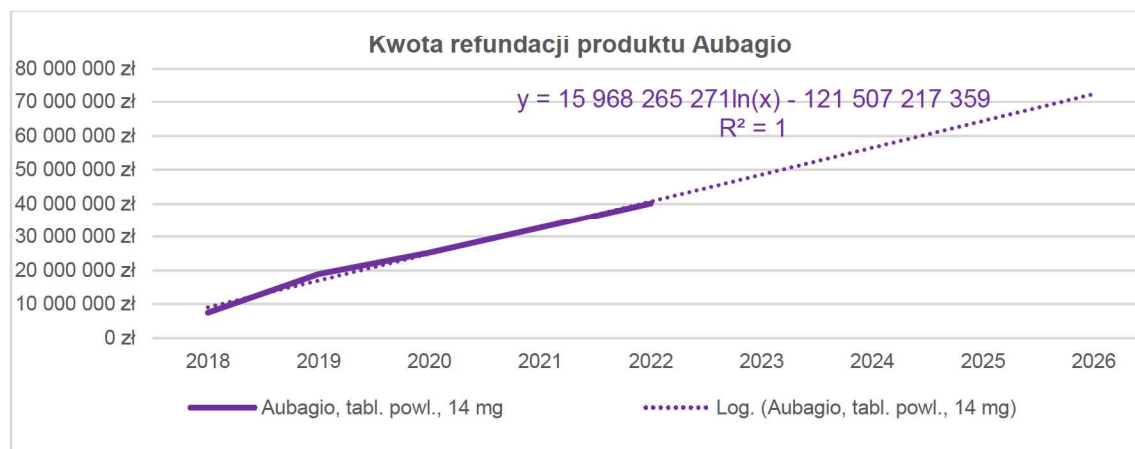
| Nazwa leku | Kwota refundacji | | | | |
|-----------------------------|------------------|---------------|---------------|---------------|---------------|
| | 2018 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 |
| Aubagio, tabl. powł., 14 mg | 7 477 641 zł | 18 934 343 zł | 25 233 926 zł | 32 719 679 zł | 40 109 537 zł |

Na podstawie powyższych danych obliczono prognozowaną kwotę refundacji w kolejnych latach. Wybrano trend logarytmiczny o wysokim współczynniku R^2 oraz charakteryzujący się wizualnie dobrym dopasowaniem do danych (Tabela 3, Wykres 1).

Tabela 3. Linia trendu dopasowana do prognozy kwoty refundacji

| Linia trendu | Rodzaj | Równanie | Współczynnik a | Współczynnik b |
|-----------------------------|---------------|----------------|----------------|------------------|
| Aubagio, tabl. powł., 14 mg | logarytmiczna | $y=a*\ln(x)+b$ | 15 968 265 271 | -121 507 217 359 |

Wykres 1. Wartość refundacji produktu Aubagio w latach 2018-2022 oraz prognoza na lata 2023-2026



Prognozowaną kwotę refundacji Aubagio, tabletki powlekane, 14 mg, w latach 2023-2026 zestawiono poniżej.

Tabela 4. Prognoza kwoty refundacji produktu Aubagio w latach 2023-2026

| Nazwa leku | Prognozowana kwota refundacji | | | |
|-----------------------------|-------------------------------|---------------|---------------|---------------|
| | 2023 | 2024 | 2025 | 2026 |
| Aubagio, tabl. powł., 14 mg | 48 596 589 zł | 56 487 998 zł | 64 375 509 zł | 72 259 125 zł |

Analizę przeprowadzono w trzyletnim horyzoncie czasowym: od stycznia 2024 roku do grudnia 2026 roku (produkt Aubagio utraci wyłączność rynkową pod koniec sierpnia 2023 roku). W scenariuszu istniejącym przedstawiono prognozowane kwoty refundacji produktu Aubagio w latach 2024-2026, natomiast w scenariuszu nowym założono, że prognozowana wartość refundacji w tym okresie, w związku z wygaśnięciem wyłączności rynkowej, zostanie obniżona o 25%. W celu wykazania kwoty oszczędności płatnika publicznego obliczono różnicę prognozowanej kwoty refundacji ze scenariusza istniejącego i scenariusza nowego.

Tabela 5. Kwota refundacji produktu Aubagio w scenariuszach analizy

| Aubagio, tabl. powł., 14 mg | Kwota refundacji | | | |
|--|------------------|---------------|---------------|----------------|
| | 2024 | 2025 | 2026 | Suma |
| Scenariusz istniejący | 56 487 998 zł | 64 375 509 zł | 72 259 125 zł | 193 122 632 zł |
| Scenariusz nowy | 42 365 998 zł | 48 281 631 zł | 54 194 344 zł | 144 841 974 zł |
| Oszczędności wynikające z nowego scenariusza | 14 121 999 zł | 16 093 877 zł | 18 064 781 zł | 48 280 658 zł |

4. Wyniki analizy

Wydatki inkrementalne płatnika publicznego związane z refundacją produktu leczniczego Repatha w latach 2024-2026 przedstawione w analizie wpływu na budżet zamieszczono w tabeli poniżej. Uwzględniają one mechanizm dzielenia ryzyka (RSS).

Tabela 6. Koszty inkrementalne płatnika publicznego związane z refundacją produktu leczniczego Repatha w latach 2024-2026 – wariant z RSS

| Repatha | Koszty inkrementalne – wariant z RSS | | | |
|---------|--------------------------------------|------------|------------|------------|
| | 2024 | 2025 | 2026 | Suma |
| | ██████████ | ██████████ | ██████████ | ██████████ |

Porównanie całkowitych 3-letnich oszczędności płatnika publicznego wynikających z proponowanego rozwiązania z całkowitymi 3-letnimi kosztami inkrementalnymi związanymi z refundacją produktu Repatha przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 7. Porównanie całkowitych 3-letnich oszczędności płatnika publicznego wynikających z proponowanego rozwiązania z całkowitymi 3-letnimi kosztami inkrementalnymi związanymi z refundacją produktu Repatha

| 3-letnie oszczędności płatnika publicznego wygenerowane w analizie racjonalizacyjnej | 3-letnie koszty inkrementalne (wyniki analizy BIA, wariant z RSS) |
|--|---|
| 48 280 658 zł | ██████████ |

Całkowite 3-letnie oszczędności płatnika publicznego wynikające z proponowanego rozwiązania znacznie przewyższają całkowite 3-letnie koszty inkrementalne związane z refundacją produktu Repatha w leczeniu hipercholesterolemii rodzinnej u dzieci i młodzieży od 10 do 18 roku życia (wariant z RSS).

Także w przypadku uwzględnienia kosztów inkrementalnych z BIA – wariant bez RSS, które wynoszą ██████████, zostały one pokryte w całości przez zaproponowane rozwiązanie.

5. Wnioski

Prognozowa 3-letnia kwota oszczędności wynikająca z wygaśnięcia wyłączności rynkowej produktu leczniczego Aubagio, tabletki powlekane, 14 mg w latach 2024-2026 wynosi łącznie 48,2 mln zł, natomiast całkowite 3-letnie koszty inkrementalne związane z refundacją produktu leczniczego Repatha (wariant z RSS) – ██████████ Oszczędności płatnika publicznego wynikające z proponowanego rozwiązania znacznie przewyższają całkowite koszty inkrementalne związane z refundacją produktu Repatha.

Na podstawie wyników analizy racjonalizacyjnej wykazano, że prognozowana kwota oszczędności jest wystarczająca, aby skompensować całkowite koszty inkrementalne związane z wydaniem pozytywnej decyzji refundacyjnej dla produktu leczniczego Repatha w leczeniu hipercholesterolemii rodzinnej u dzieci i młodzieży od 10 do 18 roku życia.

6. Bibliografia

1. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696 z późn. zm.), <http://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/download.xsp/WDU20111220696/U/D20110696Li.pdf> (dostęp dnia 22.12.2022)
2. European public assessment reports (EPARs), [https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#european-public-assessment-reports-\(epar\)-section](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#european-public-assessment-reports-(epar)-section) (dostęp dnia 22.12.2022)
3. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 grudnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2023 r. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-minister-zdrowia-z-dnia-21-grudnia-2022-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-stycznia-2022-r> (dostęp dnia 22.12.2022)
4. Raporty refundacyjne NFZ, <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/> (dostęp dnia 22.12.2022)

7. Spis tabel i wykresów

| | |
|---|---|
| Tabela 1. Dane produktu Aubagio, tabletki powlekane, 14 mg | 6 |
| Tabela 2. Kwoty refundacji produktu Aubagio w latach 2018-2022 | 7 |
| Tabela 3. Linia trendu dopasowana do prognozy kwoty refundacji | 7 |
| Tabela 4. Prognoza kwoty refundacji produktu Aubagio w latach 2023-2026 | 8 |
| Tabela 5. Kwota refundacji produktu Aubagio w scenariuszach analizy | 8 |
| Tabela 6. Koszty inkrementalne płatnika publicznego związane z refundacją produktu leczniczego Repatha w latach 2024-2026 – wariant z RSS | 9 |
| Tabela 7. Porównanie całkowitych 3-letnich oszczędności płatnika publicznego wynikających z proponowanego rozwiązania z całkowitymi 3-letnimi kosztami inkrementalnymi związanymi z refundacją produktu Repatha | 9 |
| Wykres 1. Wartość refundacji produktu Aubagio w latach 2018-2022 oraz prognoza na lata 2023-2026 | 7 |