



IGNORANTIA NOCET

Hemlibra[®] (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia
Wersja 1.1

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:

Roche Polska Sp. z o.o.

Warszawa, 26.10.2023 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 02-661
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

| Autorzy | Wykonywane zadania |
|---|--|
|  | <ul style="list-style-type: none"> ⊕ Koncepcja analizy; ⊕ Kontrola jakości; ⊕ Zdefiniowanie populacji; ⊕ Oszacowanie wielkości populacji docelowej; ⊕ Opracowanie możliwych scenariuszy; ⊕ Aspekty etyczne i społeczne |
|  | <ul style="list-style-type: none"> ⊕ Ocena kosztów; ⊕ Wnioski końcowe |

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

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy Roche Polska Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

| | |
|---|----|
| Indeks skrótów..... | 5 |
| Streszczenie 6 | |
| 1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia | 11 |
| 2. Analiza wpływu na budżet..... | 11 |
| 2.1. Metodyka analizy | 11 |
| 2.2. Horyzont czasowy | 12 |
| 2.3. Perspektywa..... | 12 |
| 2.4. Scenariusze porównywane | 13 |
| 2.5. Populacja..... | 14 |
| 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana | 14 |
| 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku | 15 |
| 2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana | 16 |
| 2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją | 16 |
| 2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją | 17 |
| 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach..... | 17 |
| 2.6. Analiza kosztów..... | 18 |
| 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej..... | 19 |
| 2.6.2. Modelowanie/podsumowanie kosztów..... | 20 |

| | |
|--|----|
| 2.7. Podsumowanie danych wejściowych | 21 |
| 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy | 24 |
| 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe | 24 |
| 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe | 24 |
| 3. Analiza wrażliwości | 28 |
| 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń | 30 |
| 5. Aspekty etyczne i społeczne | 30 |
| 6. Ograniczenia | 31 |
| 7. Podsumowanie i wnioski końcowe | 32 |
| 8. Załączniki | 34 |
| 8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej .. | 34 |
| 8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań | 35 |
| 8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej | 37 |
| 9. Spis tabel | 40 |
| 10. Spis rysunków | 42 |
| 11. Bibliografia | 43 |

Indeks skrótów

| Skrót | Rozwinięcie |
|--------|--|
| AOTMiT | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w Polsce |
| ChPL | Charakterystyka Produktu Leczniczego |
| EMI | Emicizumab |
| FVIII | ang. <i>factor VIII</i> – czynnik VIII |
| HTA | ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych |
| ICD-10 | ang. <i>International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems</i> – Międzynarodowa Statystyczna Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych |
| kg mc. | kilogram masy ciała |
| MZ | Minister Zdrowia |
| NCK | Narodowe Centrum Krwi |
| NFZ | Narodowy Fundusz Zdrowia |
| PICOS | ang. <i>population, intervention, comparison, outcome, study design</i> – populacja, interwencja, komparatory, wyniki/punkty końcowe, metodyka |
| PL | program lekowy |
| PLN | polski złoty |
| RSS | ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka |

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 Hemlibra® (emicizumab, EMI) stosowanego w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitorów czynnika VIII, w ramach programu lekowego.

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 chorzy poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitorów czynnika VIII, spełniający poniższe kryteria:

- trudny dostęp dożylny definiowany jako konieczność usunięcia drugiego portu bądź brak możliwości założenia portu, lub
- wystąpienie co najmniej trzech krwawień rocznie pomimo prawidłowo stosowanej profilaktyki czynnikiem VIII rekombinowanym, lub
- każde dziecko z rozpoznaniem ciężkiej hemofilii A do 2 roku życia.

Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii.

[Redacted text block]

Populacja docelowa, w której będzie stosowany emicizumab obejmuje wyselekcjonowaną grupę chorych, u których stosowanie czynnika VIII nie jest możliwe lub klinicznie wskazane. Chociaż eksperci klinicznie wskazują, że w populacji docelowej podaje się czynniki VIII, należy podkreślić, że jest to leczenie które nie prowadzi do uzyskania jakichkolwiek efektów terapeutycznych we wnioskowanej populacji. W analizie wpływu na system ochrony zdrowia

uwzględniono dodatkowo koszty stosowanych czynników VIII, w celu określenia rzeczywistego wpływu finansowego wprowadzenia nowej terapii.

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 EMI nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. [REDACTED]

[REDACTED] W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której EMI stosowany w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII będzie finansowany ze środków publicznych. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny. [REDACTED]

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 oddzielnej grupie limitowej.

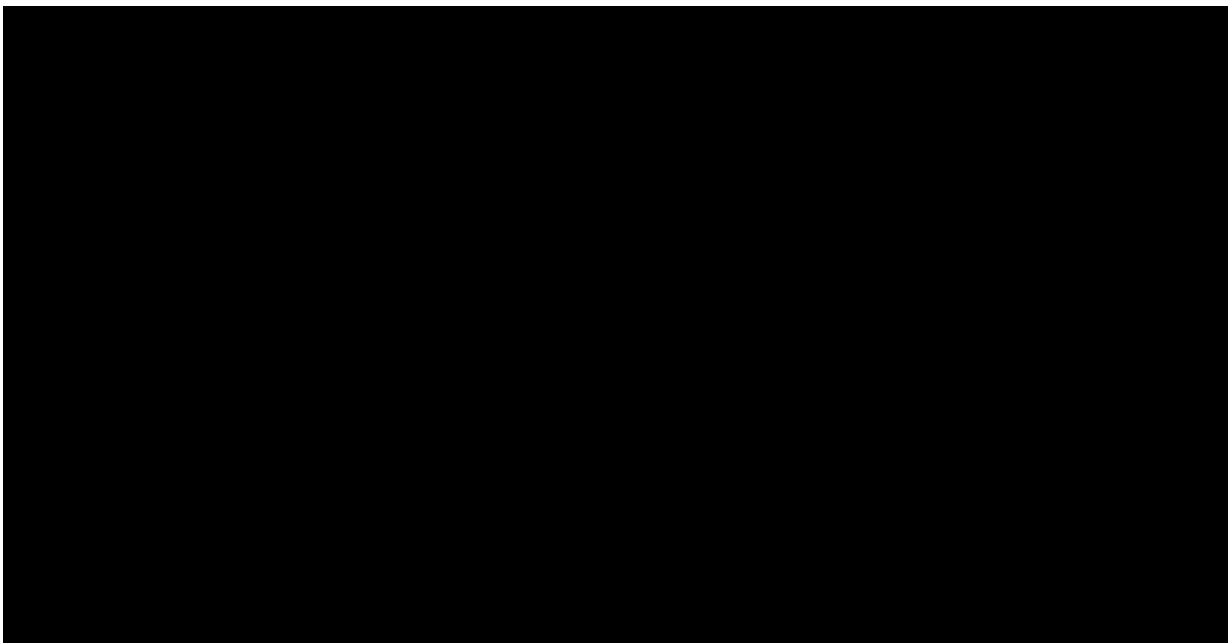
Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie kosztu leków, kosztu podania i przepisania leków oraz kosztu diagnostyki i monitorowania chorych.

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 tożsamej z perspektywą wspólną. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

WYNIKI

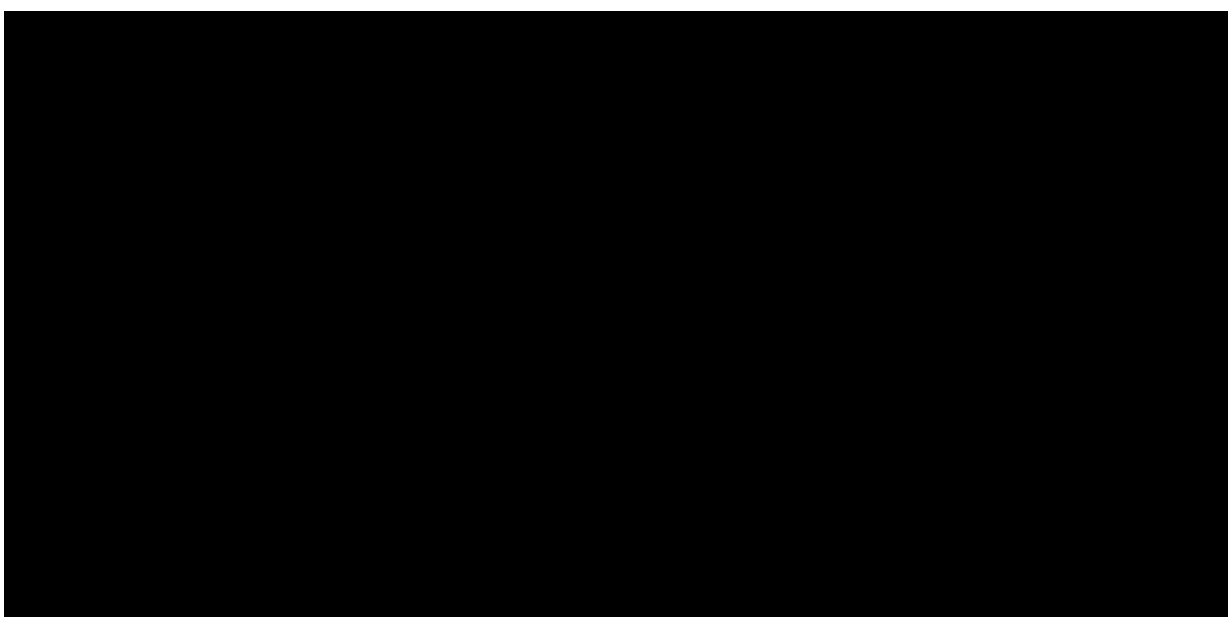
Oszacowanie populacji



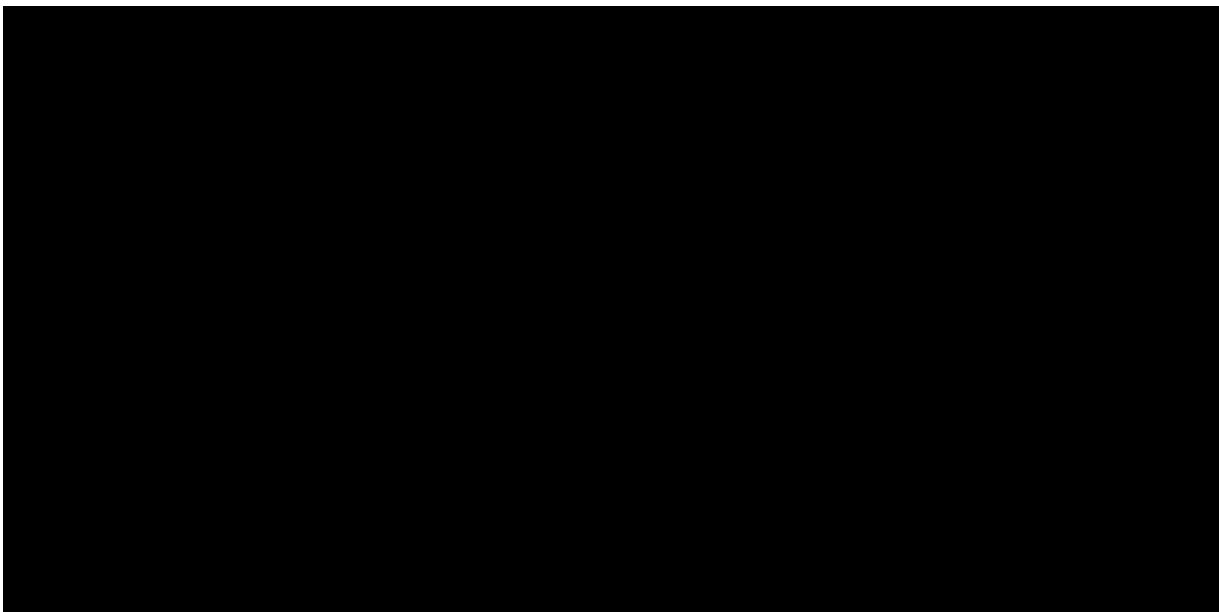
Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego i w perspektywie wspólnej

Po podjęciu pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych EMI nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego w wariantcie z uwzględnieniem RSS oraz w wariantcie bez uwzględnienia RSS.

Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS



Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS



PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce o finansowaniu ze środków publicznych leku Hemlibra® (emicizumab) w ramach programu lekowego.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia u chorych z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas nie mogli zastosować skutecznej profilaktyki krwawień teraz będą mogli skorzystać również z terapii lekiem Hemlibra®. [REDACTED]

[REDACTED] W konsekwencji finansowanie leku Hemlibra® zapewni chorym z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. [REDACTED]

Przy uwzględnieniu perspektywy wspólnej płatnika publicznego i pacjentów (tożsamej z perspektywą wspólną), wnioski z analizy nie ulegają zmianie.

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

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Hemlibra® 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.

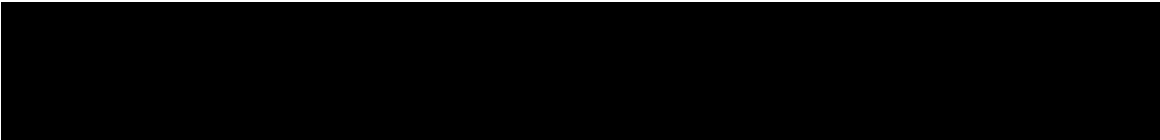
1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Hemlibra® (emicizumab) stosowanego w rutynowej profilaktyce epizodów krwawienia u chorych z hemofilią A bez inhibitorów czynnika VIII. Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Hemlibra® 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.

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. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego.

3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
4. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych (profilaktyka czynnikami VIII).
5. 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.
6. 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.

7. 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.
8. 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).
9. 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, obejmujący okres od stycznia 2024. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest brak alternatywnej technologii refundowanej w rozważanym wskazaniu, w związku z czym lek Hemlibra® powinien szybko osiągnąć zakładany udział w rynku.

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 publiczny¹)
- ⊕ 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 tym, uwzględniono dodatkowo koszty stosowania przez chorych czynników VIII.

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w programie lekowym i wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w oddzielnej 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.

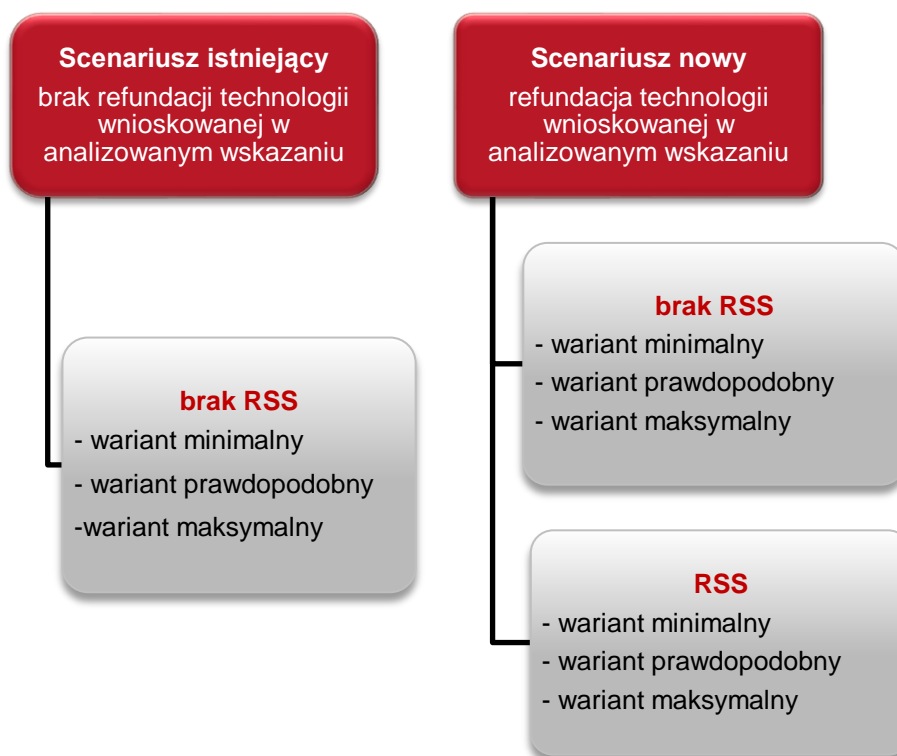
Wyniki analizy przedstawiono w dwóch wersjach: bez wprowadzenia instrumentów dzielenia ryzyka oraz po wprowadzeniu proponowanych instrumentów dzielenia ryzyka (RSS).

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

¹ Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

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 ChPL wnioskowanej technologii. Zgodnie z *ChPL Hemlibra®*, emicizumab jest wskazany do stosowania w rutynowej profilaktyce epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią A (wrodzonym niedoborem czynnika VIII):

- z inhibitorami czynnika VIII;
- bez inhibitorów czynnika VIII, u których występuje:
 - ciężka postać choroby (FVIII < 1%);
 - umiarkowana postać choroby (FVIII ≥ 1% i ≤ 5%) z ciężkim fenotypem krwotocznym.

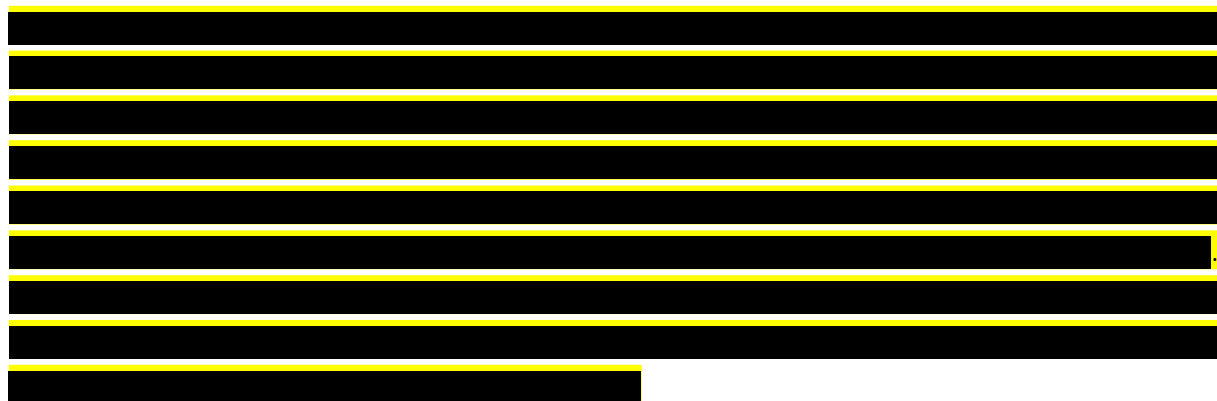
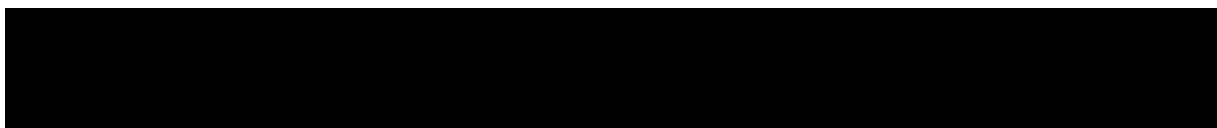


Tabela 1.

Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana



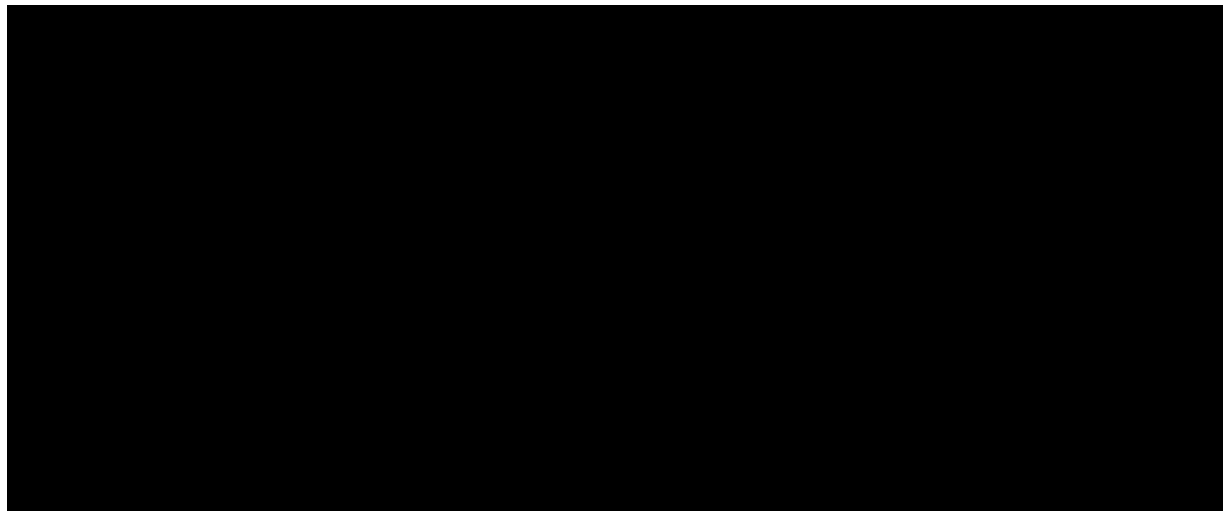
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku





Estymowaną liczebność populacji docelowej przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 2.

Populacja docelowa, wskazana we wniosku



2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana

Obecnie emicizumab jest w Polsce stosowany w szczególności w populacji chorych z ciężką hemofilią A powikłaną inhibitorem. 


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 Hemlibra® osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

2.5.4.1. Udziały w rynku

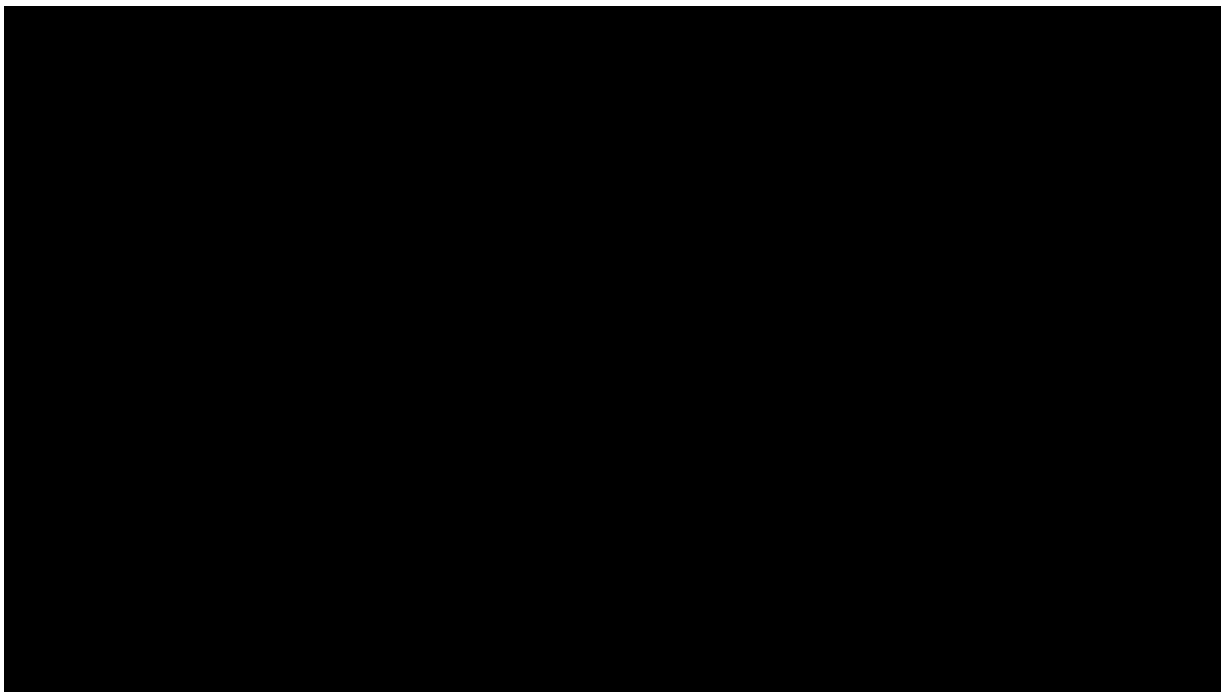



2.5.4.2. Oszacowanie wielkości populacji chorych leczonych technologią wnioskowaną

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

Tabela 3.

Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana



Wielkość dostaw emicizumab (Hemlibra®), konieczną do zastosowania terapii w oszacowanej populacji chorych, przedstawiono w załączniku (rozdział 8.3.).

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

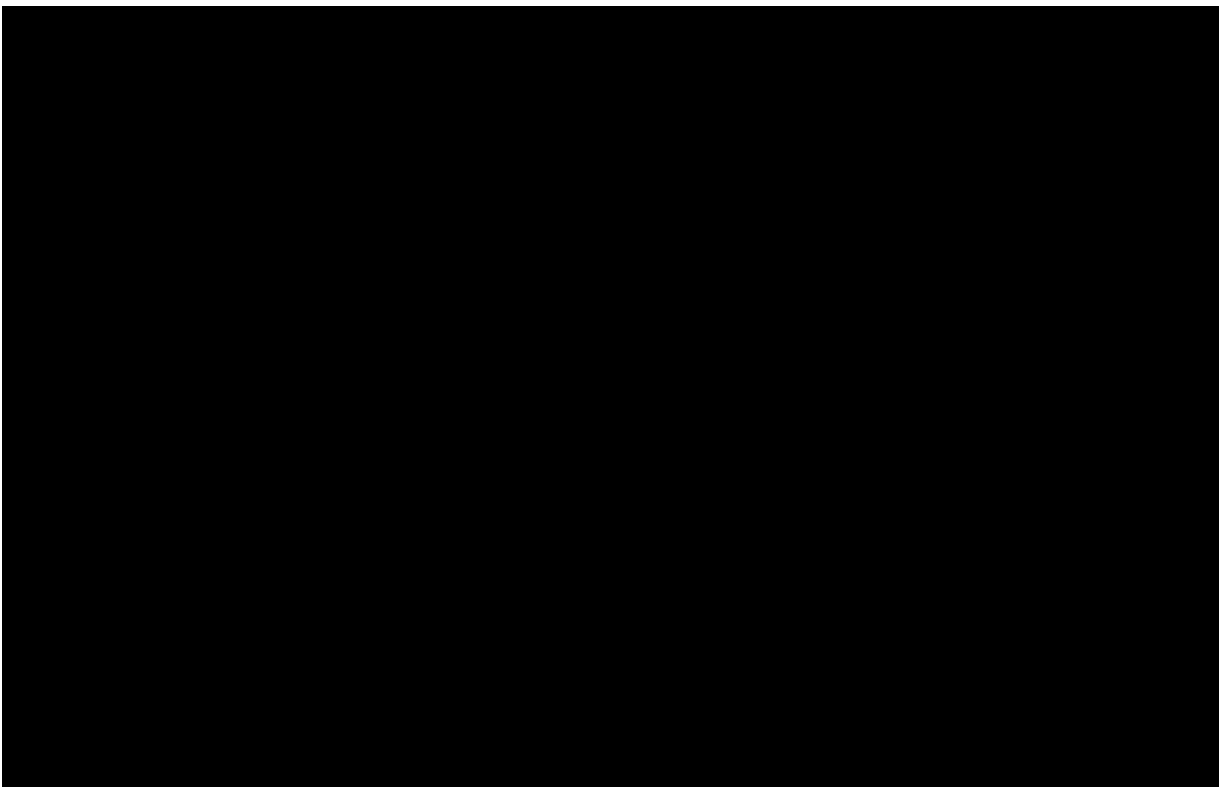
W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji emicizumab, lek ten nie będzie stosowany w populacji pediatrycznej z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem.

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 4.

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



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 (tożsamej z perspektywą płatnika publicznego) uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztów bezpośrednich medycznych:

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty podania i przepisania leków;
- ⊕ koszty diagnostyki i monitorowania chorych;
- ⊕ koszty czynników VIII.

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, czynników VIII 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 poszczególnych prezentacji leków.

2.6.1.1. Dawkowanie

Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Hemlibra®* określono, że w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII EMI podawany jest w następujący sposób:

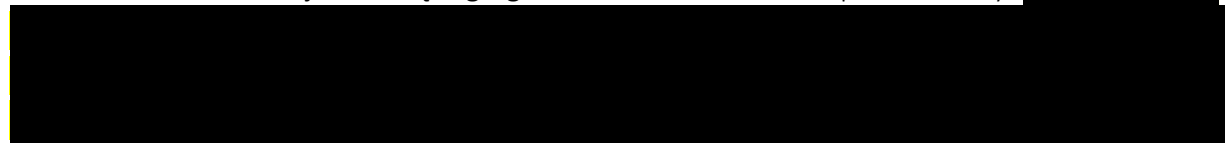
- Dawka nasycająca (3 mg/kg mc.) raz na tydzień przez pierwsze 4 tygodnie: Masa ciała chorego (kg) x dawka (3 mg/kg mc.) = całkowita ilość (mg) emicizumabu do podania;
- Następnie dawka podtrzymująca wynosząca albo 1,5 mg/kg mc. Raz na tydzień, 3 mg/kg mc. Raz na dwa tygodnie lub 6 mg/kg mc. Raz na cztery tygodnie, od 5. Tygodnia i dalej: Masa ciała chorego (kg) x dawka (1,5; 3 lub 6 mg/kg mc.) = całkowita ilość (mg) emicizumabu do podania.

Należy zaznaczyć, że trzy dopuszczalne schematy dawkowania leku, podawanego podskórnice: raz na tydzień, raz na dwa tygodnie lub raz na miesiąc, zapewniają bardziej efektywne leczenie w porównaniu do aktualnie stosowanych alternatyw, przy dużo niższej częstotliwości iniekcji.

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 oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1.

Koszt emicizumabu na jednostkę mg/kg mc. Określił Podmiot odpowiedzialny.



Ceny leku Hemlibra® zawarto w poniższej tabeli.

Tabela 5.

Koszy leków uwzględnione w analizie (PLN)

| Substancja | Prezentacja | Mg w opakowaniu |
|------------|----------------------------------|-----------------|
| EMI | Hemlibra® fiol. 1 ml 30 mg/ml | 30 |
| | Hemlibra® fiol. 0,4 ml 150 mg/ml | 60 |
| | Hemlibra® fiol. 0,7 ml 150 mg/ml | 105 |
| | Hemlibra® fiol. 1 ml 150 mg/ml | 150 |

2.6.2. Koszty czynników VIII

| |
|--|
| |
| |
| |
| |
| |
| |

Tabela 6.

Koszty czynników VIII (PLN)

| |
|--|
| |
| |
| |
| |
| |
| |

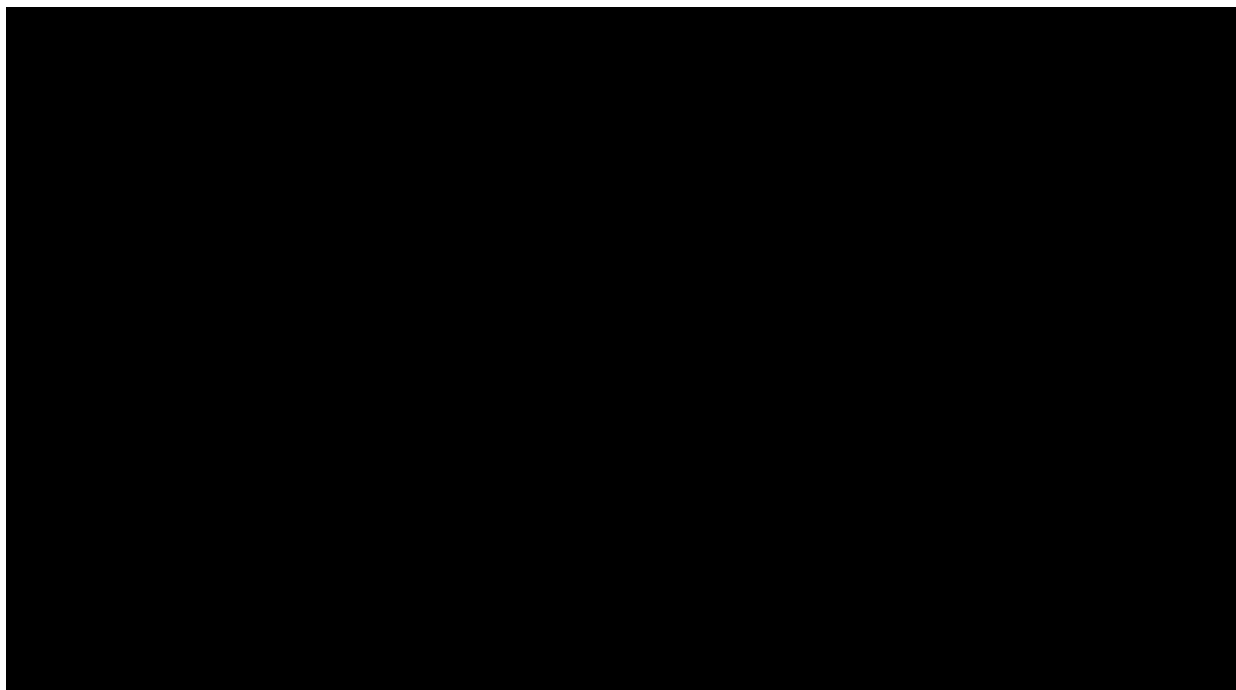
2.6.3. Modelowanie/podsumowanie kosztów

Koszty uwzględnione w niniejszym opracowaniu oszacowano biorąc pod uwagę rzeczywiste zużycie mg leku Hemlibra w populacji docelowej, koszt za miligram leku Hemlibra oraz koszty podania/przepisania leku i koszty diagnostyki i monitorowania chorych.

W tabeli poniżej zestawiono całkowite koszty różniące poszczególne terapie, z perspektywy płatnika publicznego (tożsamej z perspektywą wspólną) dla obu wersji: z uwzględnieniem RSS oraz bez uwzględnienia RSS.

Tabela 7.

Roczne koszty różniące porównywane technologie (PLN) w ujęciu rocznym



2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 8.

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 |
|---|---|--|--|--------------------------------------|
| Parametry analizy wpływu na budżet | | | | |
| Horyzont czasowy analizy | 2 lata | n/d | n/d | Rozdział 2.2 |
| Liczebność populacji docelowej | Rozdział 2.5.2., | Rozdział 2.5.2. | Rozdział 2.5.2. | [Redacted] |
| Udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych | Rozdział 2.5.4.1. | Rozdział 2.5.4.1. | Rozdział 2.5.4.1. | [Redacted] |
| Parametry kosztowe | | | | |
| [Redacted] | [Redacted] | n/d | n/d | Dane dostarczone przez Wnioskodawcę |
| [Redacted] | [Redacted] | n/d | n/d | Dane dostarczone przez Wnioskodawcę |
| [Redacted] | [Redacted] | [Redacted] | [Redacted] | [Redacted] |




| 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 |
|----------|---|--|--|--------------------------------------|
| Koszty | n/d | n/d | n/d | <i>Analiza ekonomiczna</i> |

2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowania wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków oraz całkowite koszty różniące leczenia jednego chorego w ciągu roku, wyznaczono roczne wydatki budżetowe w perspektywie płatnika publicznego, które są tożsame z wydatkami w perspektywie wspólnej. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu.

2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano biorąc pod uwagę liczebność populacji docelowej właściwej dla 2023 roku. 



Obecnie EMI 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 tożsamej z perspektywą wspólną. Dodatkowo wyniki przedstawiono z uwzględnieniem lub nie instrumentów dzielenia ryzyka (wersja z RSS, wersja bez RSS) oraz w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

Tabela 9.

Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS

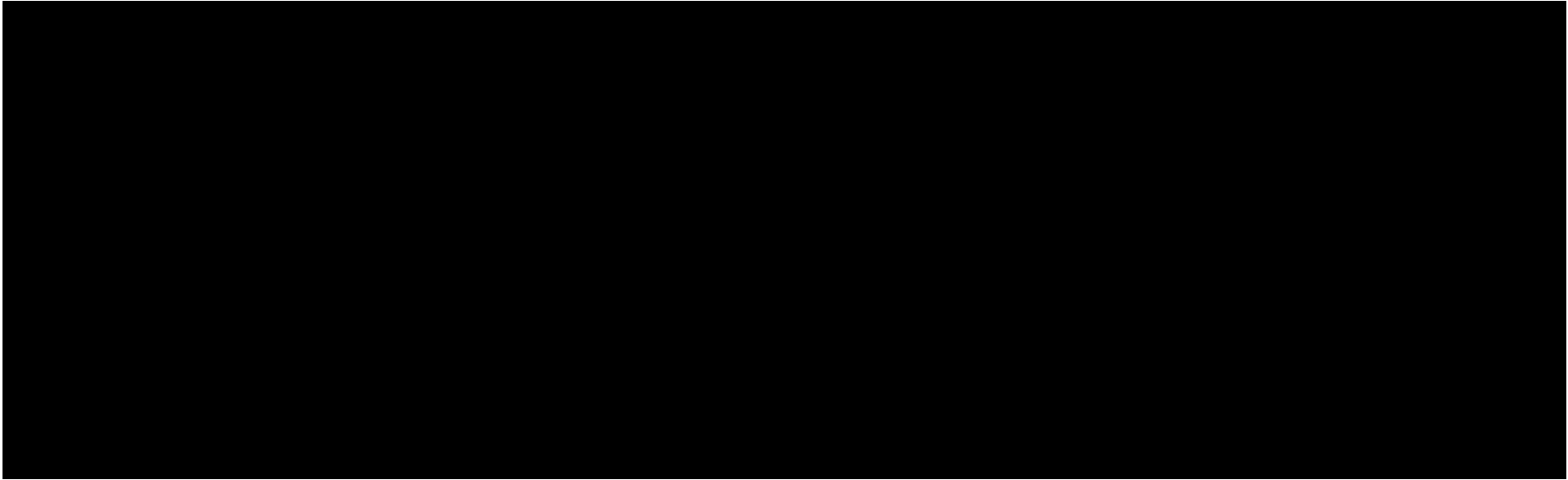
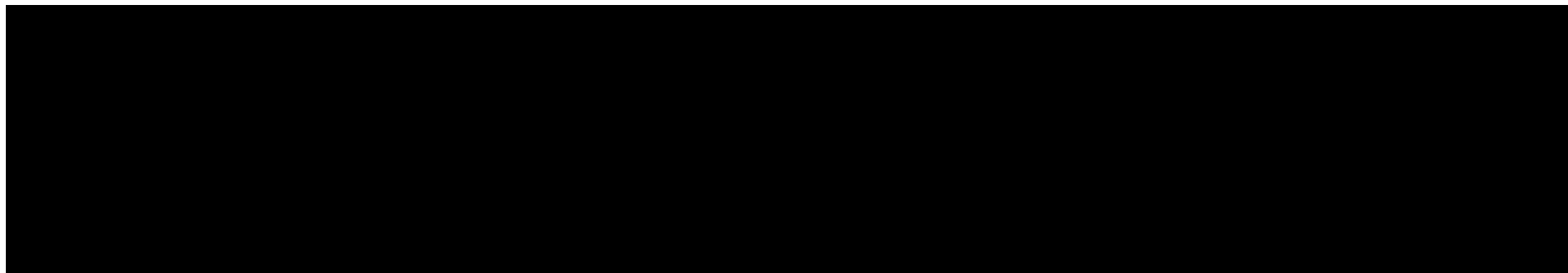
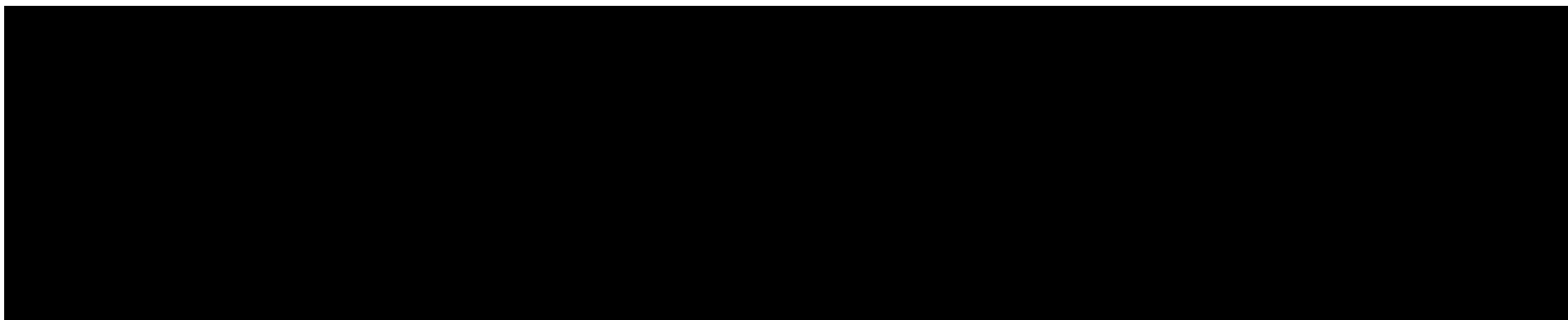
A large black rectangular area covering the entire content of Table 9, indicating that the data has been redacted.

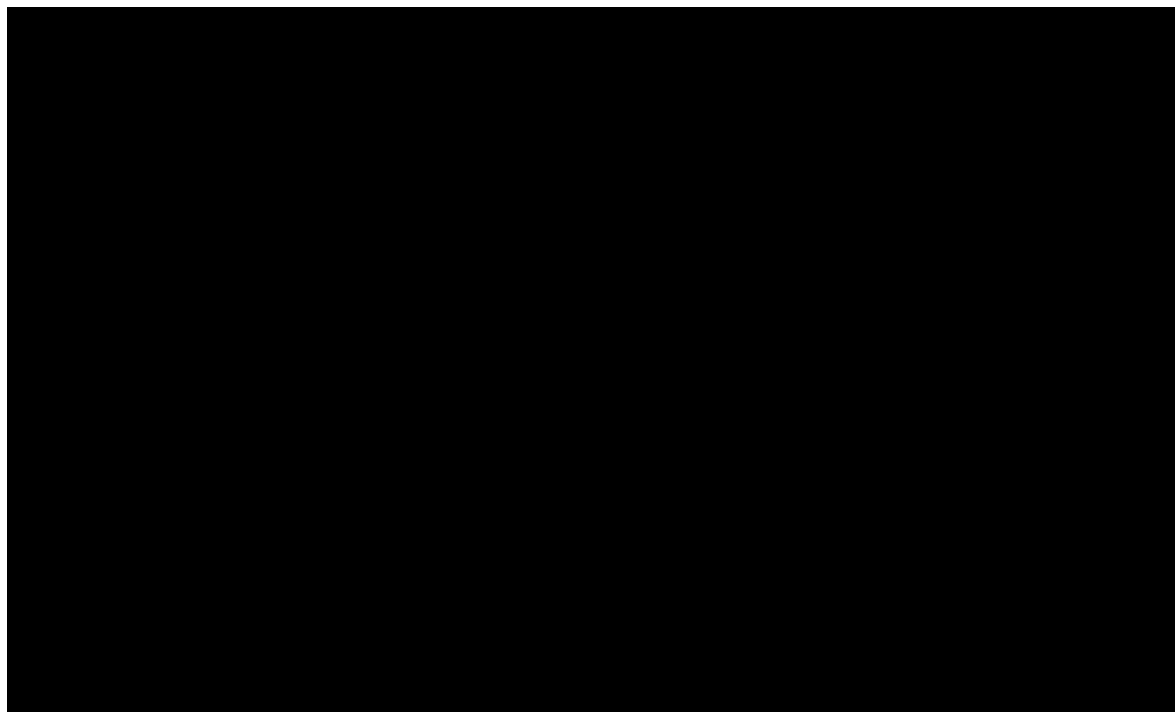
Tabela 10.

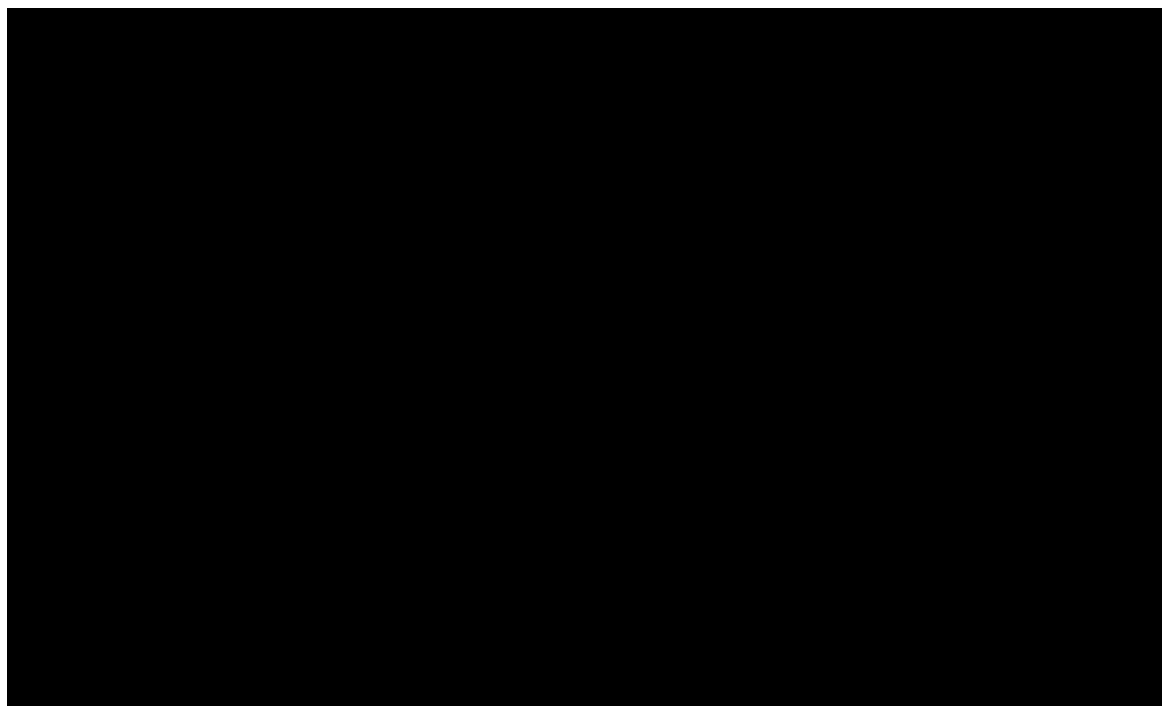
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS

A large black rectangular area covering the entire content of Table 10, indicating that the data has been redacted.



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





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 i ich zakres oraz scenariusze alternatywne przedstawiono w Rozdziale 2.6.2.

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższej tabeli.

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

Tabela 11.

Wyniki analizy wrażliwości w wariancie z RSS (perspektywa płatnika publicznego tożsama z perspektywą wspólną)

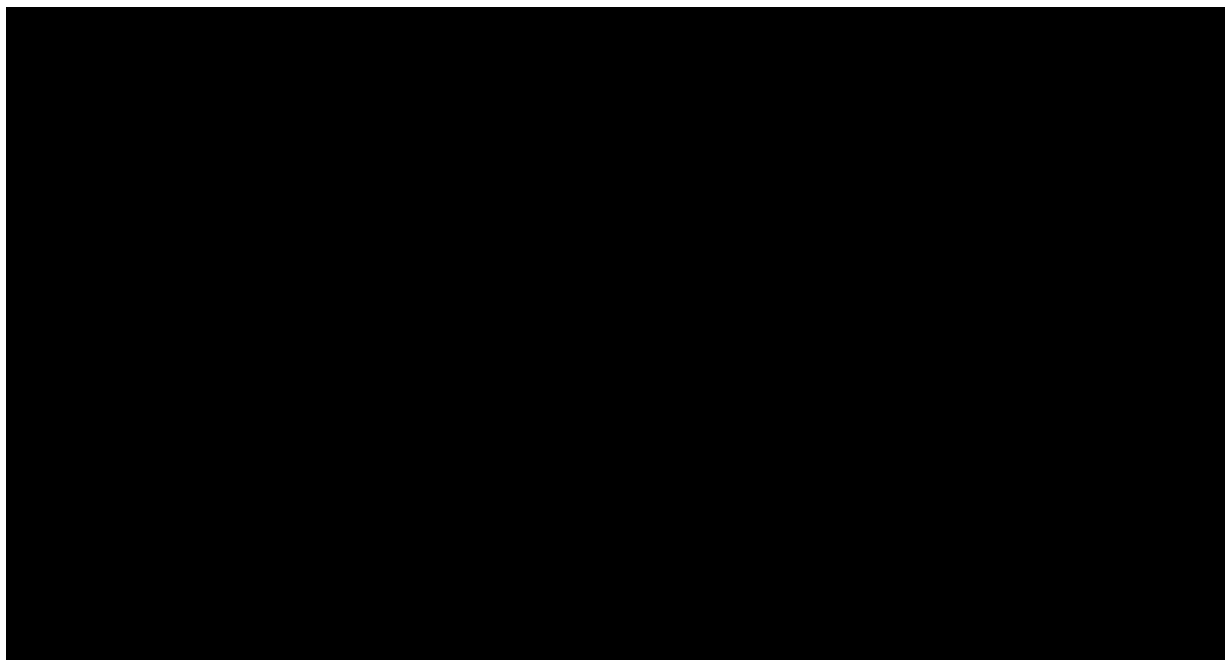
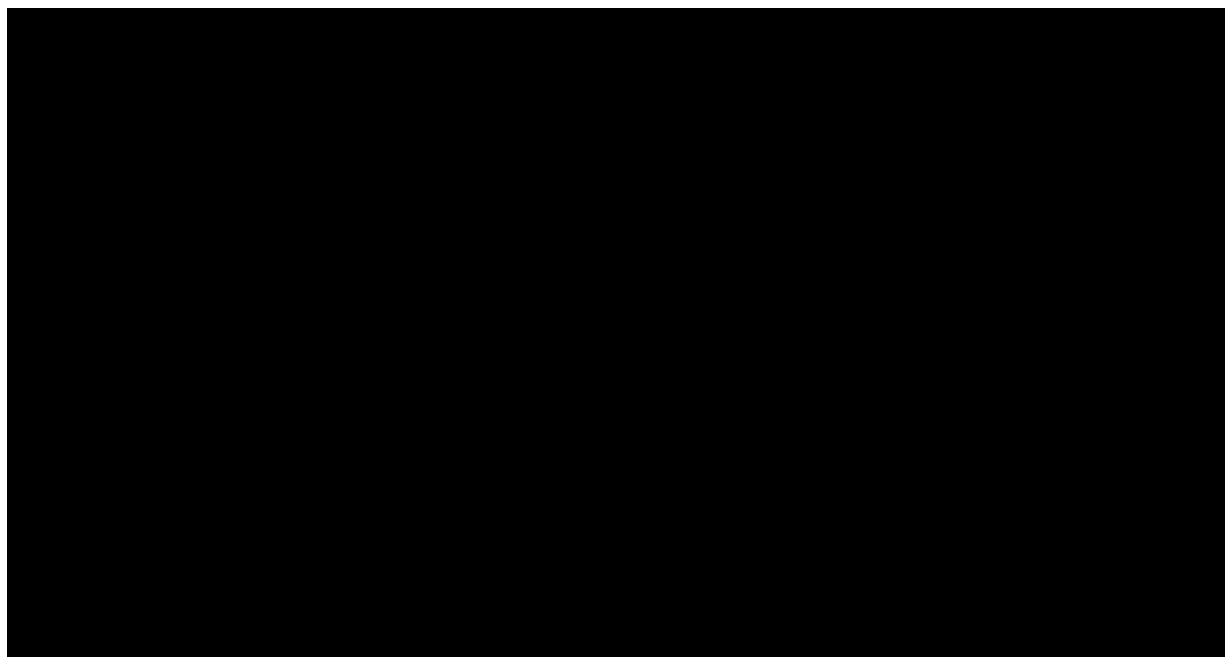


Tabela 12.

Wyniki analizy wrażliwości w wariancie bez RSS (perspektywa płatnika publicznego tożsama z perspektywą wspólną)



4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Hemlibra® (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII, w ramach programu lekowego, nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

W związku z powyższym, w wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

5. Aspekty etyczne i społeczne

Wnioskowana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba społeczna na wprowadzenie skutecznej terapii. Dotychczasowy brak skutecznej profilaktyki krwawień nie może zostać uznany za satysfakcjonujący.

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 EMI pomoże ograniczyć te koszty i będzie stanowiła odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę społeczną.

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Hemlibra® 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.

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.

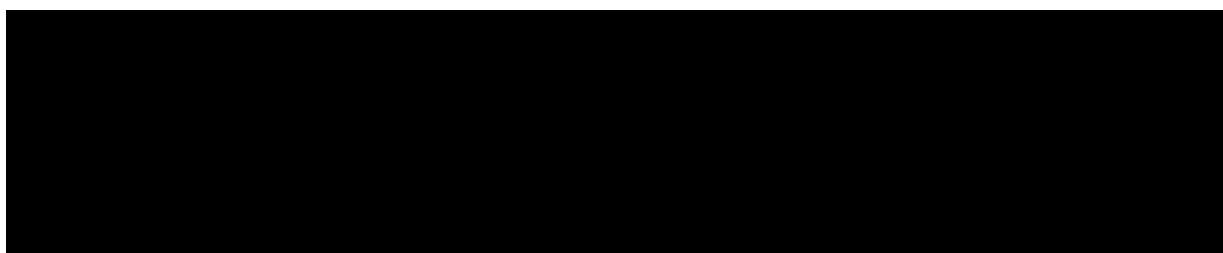
Poniższa tabela przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącą stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

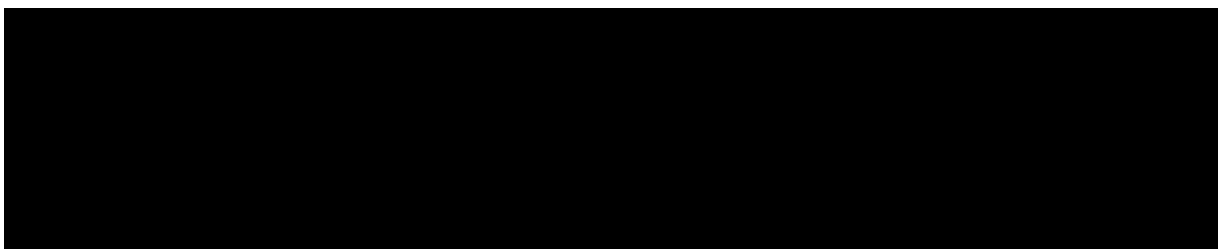
Tabela 13.

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. | Nie |
| Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym: | |
| wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej; | Nie |
| grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych; | Nie |
| powodować lub zmieniać stygmatyzację; | Nie |
| wywoływać ponadprzeciętny lęk; | Nie |
| powodować dylematy moralne; | Nie |
| stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne. | Nie |
| Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii: | |
| 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 |
| Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak: | |
| 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. Ograniczenia





W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach odrębnej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1.

Dodatkowo przyjęto, że przeciętny rok trwa dokładnie 365 dni.

7. Podsumowanie i wnioski końcowe

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

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją chorzy poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII.

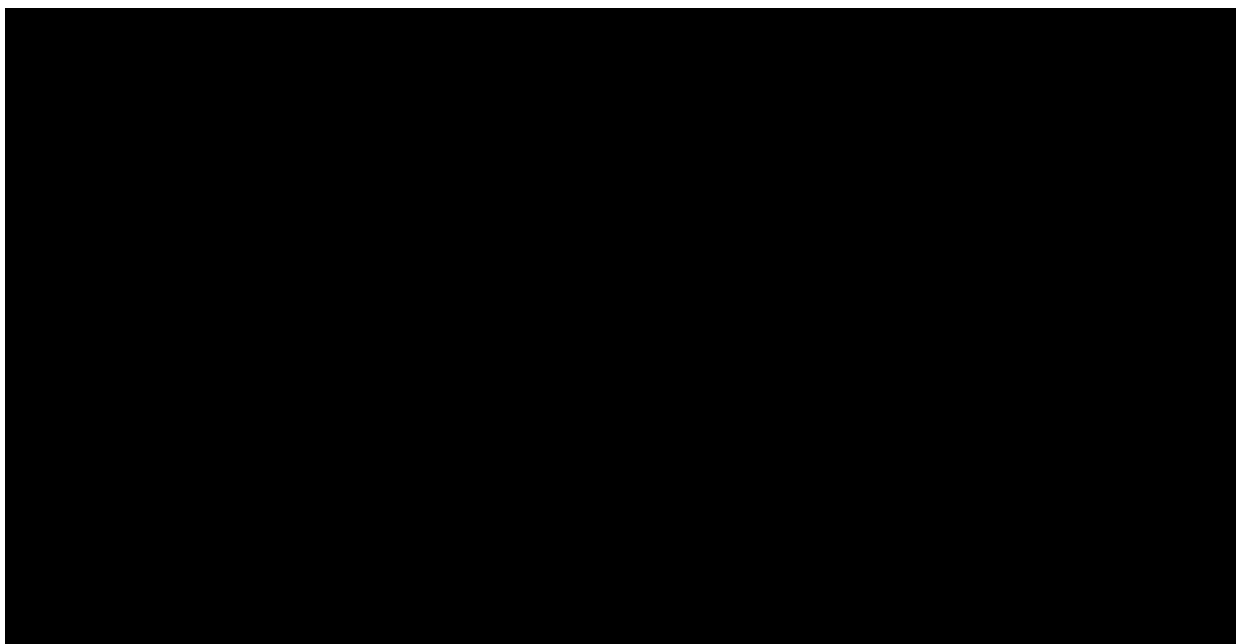
Wpływ na system ochrony zdrowia określono w odniesieniu do następujących obszarów:

- ⊕ 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;

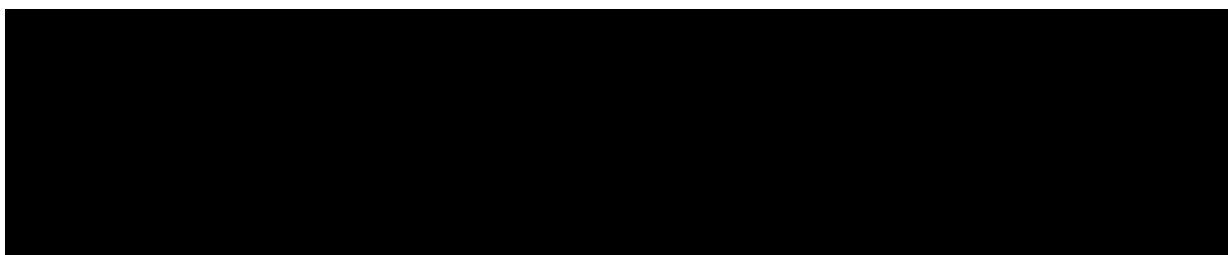
Analizę wykonano dla okresu 2 lat, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy rozpatrywanymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego oraz pacjenta.

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

Oszacowanie populacji



Bezpośrednią konsekwencją decyzji refundacyjnej będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas nie mogli zastosować profilaktyki krwawień teraz będą mogli skorzystać z terapii lekiem Hemlibra®. W konsekwencji finansowanie leku Hemlibra® zapewni chorym na wnioskowane wskazanie 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, Wnioskodawca proponuje zawarcie umowy podziału ryzyka (RSS).

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Hemlibra® 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.

8. Załączniki

8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej

W przypadku leku Hemlibra® nie są spełnione wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 Ustawy o refundacji. Nie ma to jednak żadnego wpływu na decyzję w zakresie kwalifikacji do wspólnej albo odrębnej grupy limitowej. Zapis punktu 1 („... w przypadku, gdy droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny”) dotyczy tylko sytuacji, w której lek zawierający daną substancję czynną jest już refundowany (ale jest to lek o innej drodze podania lub innej postaci farmaceutycznej niż lek wnioskowany). Zapisy punktu 3 dotyczą wyłącznie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia. Lek Hemlibra® nie jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia.

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, że leku Hemlibra® nie można zakwalifikować do żadnej z obecnie istniejących grup limitowych. Lek ten nie spełnia kryteriów kwalifikacji do wspólnych grup limitowych, o których mowa w art. 15 ust 2 *Ustawy o refundacji* ze względu na brak: tej samej nazwy międzynarodowej, brak tych samych mechanizmów działania i podobnych działań terapeutycznych, zgodności wskazań i przeznaczeń, tej samej skuteczności w porównaniu do jakiegokolwiek innego obecnie refundowanego preparatu.

Objęcie refundacją EMI może nastąpić tylko w drodze utworzenie nowej grupy limitowej. Nie jest możliwe włączenie leku Hemlibra® do jednej z już istniejących grup limitowych gdyż nie ma grupy limitowej dla preparatów, które miałyby te same wskazania i przeznaczenia oraz sposób działania i udowodnioną skuteczność, więc nie będzie spełniony warunek z art. 15 ust. 2 pkt 1 *Ustawy o refundacji*.

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

Tabela 14.

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. |
| 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 | TAK, rozdział 2.8.2. |

| Nr | Zadanie | Tak/Nie/nie dotyczy |
|-------|--|--|
| | publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku | |
| 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 0 |
| 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 8.1. |
| 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 <ul style="list-style-type: none"> z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka), bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka | TAK |
| 13.1. | Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> 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) 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) | TAK, rozdział 8.1. |

8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

Tabela 15.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 1 ml 30 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)

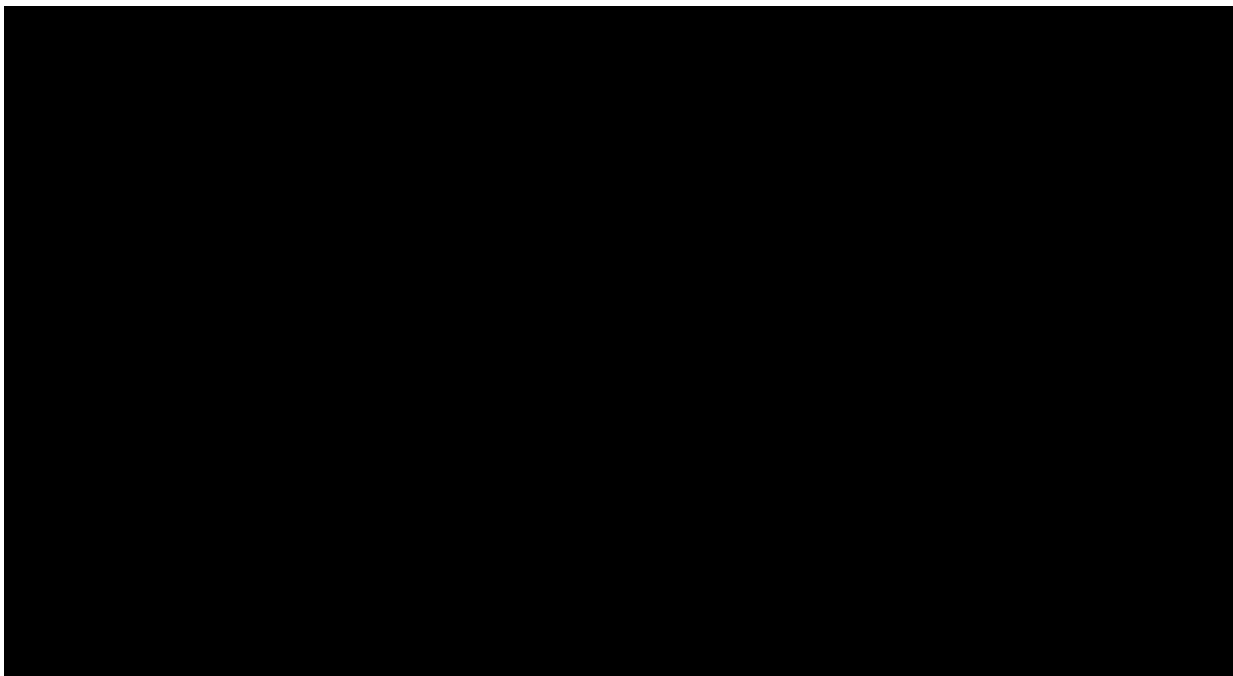
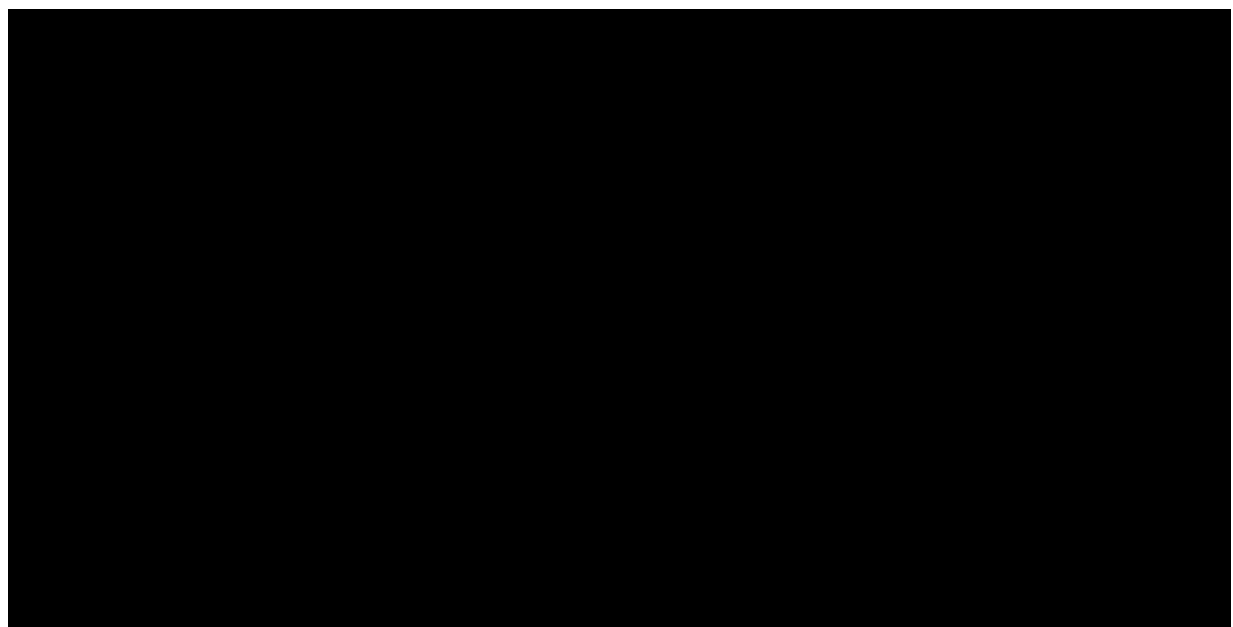


Tabela 16.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 0,4 ml 150 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)



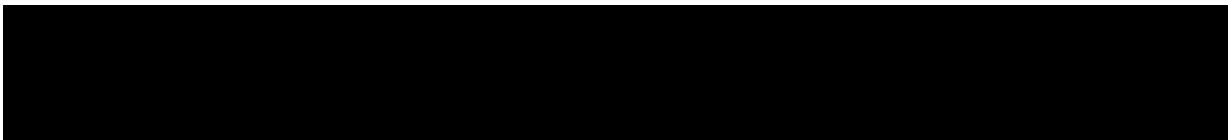


Tabela 17.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 0,7 ml 150 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)

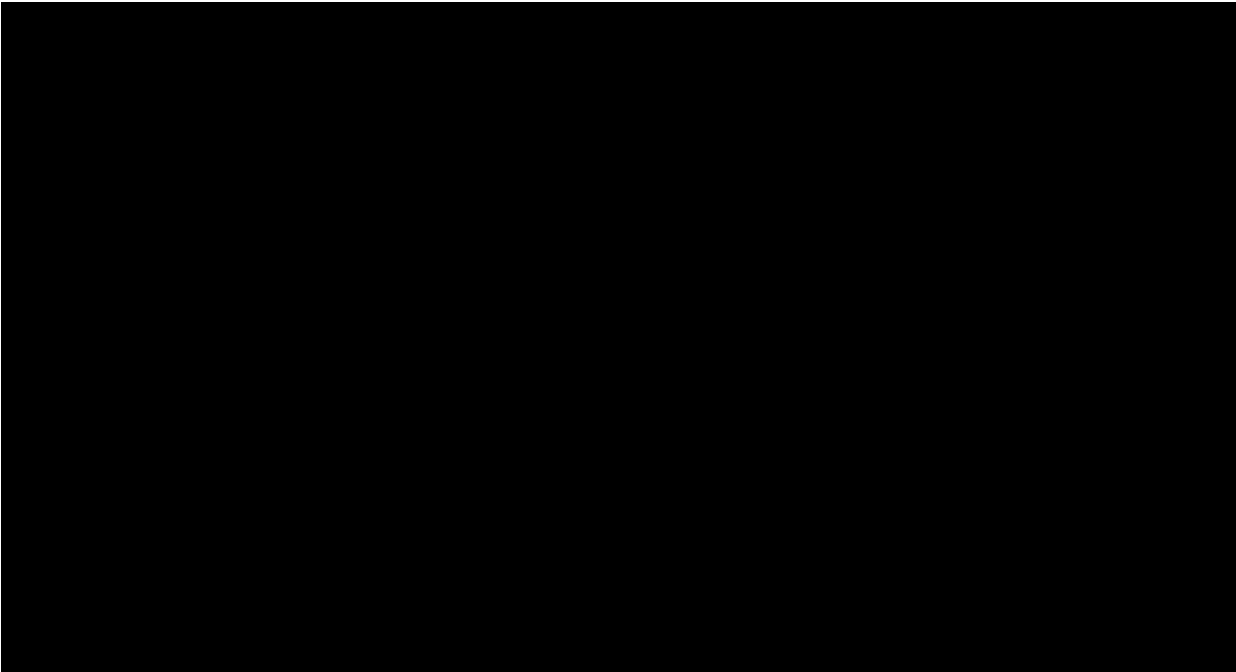
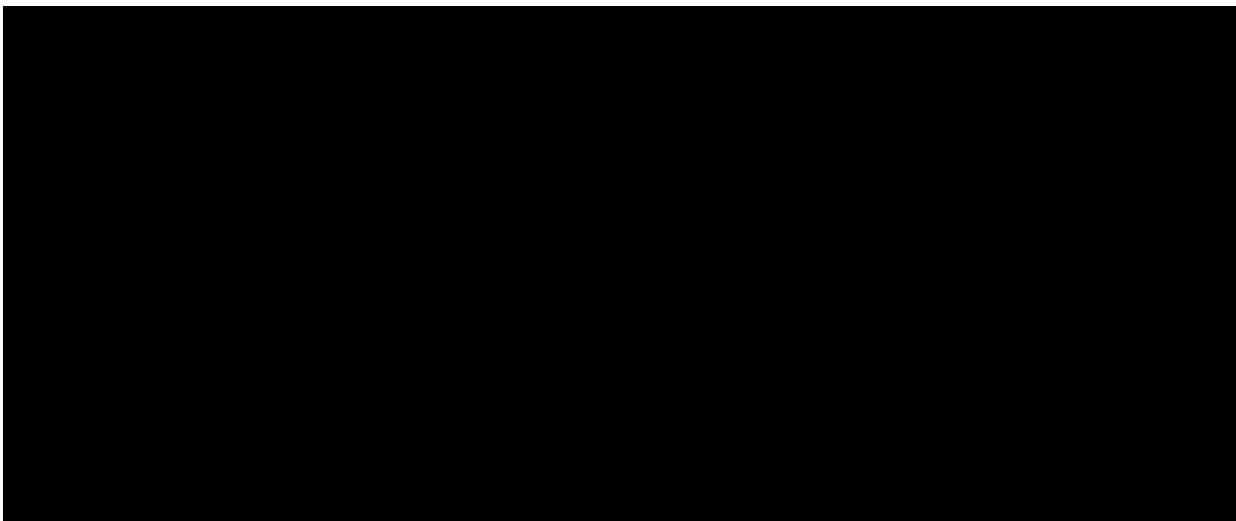
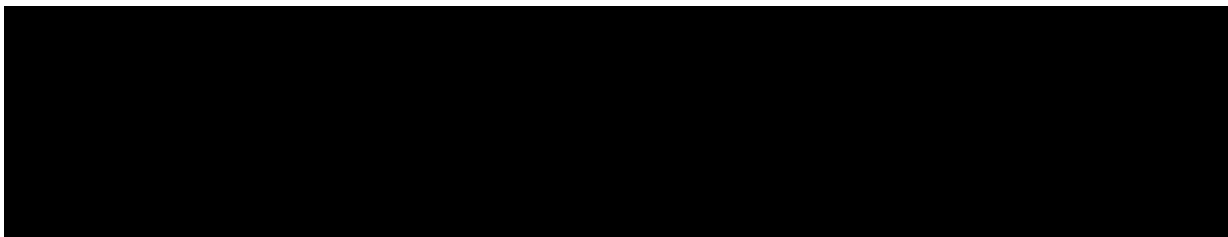


Tabela 18.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 1 ml 150 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)





9. Spis tabel

| | |
|---|----|
| Tabela 1. Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana..... | 15 |
| Tabela 2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku | 16 |
| Tabela 3. Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana | 17 |
| Tabela 4. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> | 18 |
| Tabela 5. Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN)..... | 20 |
| Tabela 6. Roczne koszty różniące porównywane technologie (PLN) w ujęciu rocznym | 21 |
| Tabela 7. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet..... | 22 |
| Tabela 8. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS | 25 |
| Tabela 9. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS..... | 25 |
| Tabela 10. Wyniki analizy wrażliwości w wariancie z RSS (pespektywa płatnika publicznego tożsama z perspektywą wspólną) | 29 |
| Tabela 11. Wyniki analizy wrażliwości w wariancie bez RSS (pespektywa płatnika publicznego tożsama z perspektywą wspólną) | 29 |
| Tabela 12. Aspekty społeczne i etyczne..... | 31 |
| Tabela 13. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> | 35 |
| Tabela 14. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 1 ml 30 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)..... | 37 |

| | |
|---|----|
| Tabela 15. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 0,4 ml 150 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) | 37 |
| Tabela 16. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 0,7 ml 150 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach) | 38 |
| Tabela 17. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 1 ml 150 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)..... | 38 |

10. Spis rysunków

| | |
|---|----|
| Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet..... | 14 |
| Rysunek 2. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej, w wersji z RSS (PLN)..... | 27 |
| Rysunek 3. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej, w wersji bez RSS (PLN)..... | 28 |

11. Bibliografia

| Publikacja/Źródło danych | Referencje |
|---|--|
| Analiza ekonomiczna | Hemlibra® (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII. <i>Analiza ekonomiczna</i> , MAHTA 2023 |
| Analiza kliniczna | Hemlibra® (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII. <i>Analiza kliniczna</i> , MAHTA 2023 |
| Analiza problemu decyzyjnego | Hemlibra® (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych poniżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII. <i>Analiza problemu decyzyjnego</i> , MAHTA 2023 |
| ChPL Hemlibra® | Charakterystyka Produktu Leczniczego Hemlibra® |
| Dane dostarczone przez Wnioskodawcę | Dane otrzymane od Wnioskodawcy w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej, RSS |
| Opracowanie AOTMIT | Ocena zasadności włączenia produktu leczniczego Hemlibra (emicizumab) do modułu programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: w profilaktyce krwawień u chorych na ciężką hemofilią A bez inhibitorów czynnika VIII. Opracowanie nr: OT.422.0.1.2023a, data ukończenia: 2.06.2023 r. |
| Program lekowy leczenia hemofilii | Program lekowy Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67) – Załącznik B.15. i Załącznik B.94. do Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 20 czerwca 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2023 r. |
| 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 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 |
| 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 Ministra Zdrowia z dnia 20 czerwca 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2023 r. |

| Publikacja/Źródło danych | Referencje |
|--------------------------|--|
| Wytyczne AOTMiT | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016 |
