



Tafamidis (Vyndaqel[®]) w leczeniu kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej

Analiza racjonalizacyjna

Warszawa, 2024

**Dane kontaktowe**

HealthQuest sp. z o.o.
ul. Mickiewicza 63
01-625 Warszawa
tel/fax +48 22 468 05 34
kontakt@healthquest.pl
<http://www.healthquest.pl>

Konflikt interesów

Opracowanie zamówione i sfinansowane przez Pfizer Polska Sp. z o.o., ul. Żwirki i Wigury 16B, 02-092 Warszawa.

Spis treści

| | |
|---------------------------------|----|
| Wykaz skrótów i akronimów | 3 |
| 1 Założenia analizy | 4 |
| 2 Przedmiot analizy | 5 |
| 3 Metodyka..... | 6 |
| 4 Wyniki analizy | 10 |
| Spis tabel | 11 |
| Bibliografia | 12 |

Wykaz skrótów i akronimów

| | |
|------|--|
| BIA | analiza wpływu na budżet (ang. <i>budget impact analysis</i>) |
| DGL | Departament Gospodarki Lekami |
| NFZ | Narodowy Fundusz Zdrowia |
| PLN | polski złoty |
| r.ż. | rok życia |

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.

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].

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 finansowaniem preparatu Vyndaqel® w leczeniu chorych z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM).

3 Metodyka

Analizę pokazującą rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, oparto na założeniu redukcji ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego). W niniejszej analizie wykorzystano możliwość obniżenia limitu finansowania, które będzie wynikać z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie stosowanych substancji.

Ze względu na brak możliwości uwolnienia środków w pożądanej wysokości z produktów stosowanych we wskazaniu, w którym wnioskowana jest refundacja preparatu Vyndaqel® w analizie rozważano możliwości uwolnienia środków w obrębie rynku innych grup terapeutycznych. Tym samym w ramach analizy racjonalizacyjnej wskazano możliwość obniżenia limitu finansowania, który wynikać będzie z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie stosowanych substancji czynnych:

- omalizumabu (Xolair®, grupa limitowa 1102.0, Omalizumabum),
- certolizumabu pegolu (Cimzia®, grupa limitowa 1104.0, Certolizumab pegol),
- natalizumabu (Tysabri®, grupa limitowa 1116.0, Natalizumab),
- sekukinumabu (Cosentyx®, grupa limitowa 1180.0, Sekukinumab)

Preparaty biopodobne dla tocilizumabu, omalizumabu, certolizumabu pegolu, natalizumabu i sekukinumabu są już w fazie badań [GaBI 2016a, GaBI 2017b, GaBI 2019a, GaBI 2019b, GaBI 2023].

Wybór leków wynika z terminu wygaśnięcia praw ochrony patentowej dla tych substancji czynnych – patenty dla produktów Xolair® (omalizumab), Cimzia® (certolizumab pegol), Tysabri® (natalizumab) i Cosentyx® (sekukinumab) już wygasły.

W związku z tym oszczędności mogą być generowane od momentu wprowadzenia finansowania preparatu Vyndaqel® w analizowanym wskazaniu [GABIONLINE 2018].

W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, które mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% ceny zbytu netto prezentacji o najniższym koszcie za DDD, liczoną według ceny zbytu netto jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu [Ustawa refundacyjna 2011]. Jednocześnie mając na uwadze specyfikę refundacji leków w programach lekowych (leki wydawane bezpłatnie), należy założyć, że wprowadzenie tańszego odpowiednika spowoduje automatyczne, natychmiastowe obniżenie ceny wszystkich leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do poziomu ceny wprowadzonego odpowiednika, oznacza to co najmniej 25% redukcję obowiązującej ceny urzędowej leków będących przedmiotem niniejszej analizy.

Logicznym następstwem wprowadzenia tańszych odpowiedników jest ograniczenie wydatków szpitali, związanych z zakupem leków, a ze strony NFZ – ograniczenie wydatków refundacyjnych (w analizie założono, że szpitale nie będą kupowały leku po cenie wyższej niż

limit finansowania). W Tab. 2 przedstawiono kwoty refundacji obecnych preparatów zawierających rozważane substancje czynne. Koszty refundacji leków w ramach programów lekowych oszacowano na podstawie raportu Departamentu Gospodarki Lekami (DGL) za okres styczeń-listopad 2023 [Raport refundacyjny 2023]. Koszty poniesione w ciągu 11 miesięcy skorygowano tak, aby oszacować wydatki w perspektywie pełnego roku. W Tab. 3 przedstawiono prognozę limitów refundacji odpowiedników analizowanych substancji czynnych w ciągu roku przy założeniu 25% redukcji ceny w stosunku do obecnych preparatów.

Założono, że uwolnione środki będą na stałym poziomie w kolejnych latach. Analiza wpływu na budżet obejmowała 2-letni horyzont czasowy, dlatego w analizie racjonalizacyjnej uwzględniono wyniki analizy podstawowej, łącznie dla I i II roku analizy (por. Tab. 1).

Tab. 1. Dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ w perspektywie I i II roku analizy [BIA Vyndaqel 2023].

| Rok analizy | I rok | II rok | SUMA |
|-------------|------------|------------|------------|
| ██████████ | ██████████ | ██████████ | ██████████ |

PLN – polski złoty

Tab. 2. Wartość refundacji w ciągu 12 miesięcy*.

| Substancja czynna | Nazwa, postać i dawka leku | Zawartość opakowania | Kod EAN | Grupa limitowa | Wartość refundacji w ciągu 12 miesięcy, PLN |
|----------------------|---|-----------------------|----------------|----------------------------|---|
| Omalizumab | Xolair, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg | 1 amp.-strzyk. 1 ml | 05909990708406 | 1102.0, Omalizumabum | ██████████ |
| | Xolair, roztwór do wstrzykiwań, 75 mg | 1 amp.-strzyk. 0,5 ml | 05909990708376 | 1102.0, Omalizumabum | ██████████ |
| Certolizumabum pegol | Cimzia, roztwór do wstrzykiwań w amp.-strz., 200 mg/ml | 2 amp.-strz. | 05909990734894 | 1104.0, Certolizumab pegol | ██████████ |
| Natalizumabum | Tysabri, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 300 mg | 1 fiol.po 15 ml | 05909990084333 | 1116.0, Natalizumab | ██████████ |
| Sekukinumab | Cosentyx, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml | 2 amp.-strz./2 wstrz. | 05909991203832 | 1180.0, Sekukinumab | ██████████ |
| | Cosentyx, roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 300 mg | 1 wstrzykiwacz | 07613421040130 | 1180.0, Sekukinumab | ██████████ |
| | Cosentyx, roztwór do wstrzykiwań w ampulko-strzykawce, 75 mg | 1 amp.-strz. 0,5 ml | 07613421049416 | 1180.0, Sekukinumab | ██████████ |

*Wartość refundacji oszacowano na podstawie danych z raportu DGL za okres styczeń-listopad 2023. W celu wyrażenia wartości refundacji w perspektywie 12 miesięcy, przeprowadzono korektę kosztów, zakładając proporcjonalny wzrost kosztów w ciągu roku.

Tab. 3. Prognoza wartości refundacji nowych preparatów w ciągu 12 miesięcy.

| Substancja czynna | Nazwa, postać i dawka leku | Zawartość opakowania | Kod EAN | Grupa limitowa | Wartość refundacji po wprowadzeniu redukcji, PLN |
|-------------------|-------------------------------------|-----------------------|---------|----------------------|--|
| Omalizumab | XXX, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg | 1 amp.-strzyk. 1 ml | — | 1102.0, Omalizumabum | ██████████ |
| | XXX, roztwór do wstrzykiwań, 75 mg | 1 amp.-strzyk. 0,5 ml | — | 1102.0, Omalizumabum | ██████████ |

| Substancja czynna | Nazwa, postać i dawka leku | Zawartość opakowania | Kod EAN | Grupa limitowa | Wartość refundacji po wprowadzeniu redukcji, PLN |
|----------------------|---|------------------------|---------|----------------------------|--|
| Certolizumabum pegol | XXX, roztwór do wstrzykiwań w amp.-strz., 200 mg/ml | 2 amp.-strz. | — | 1104.0, Certolizumab pegol | ██████████ |
| Natalizumabum | XXX, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 300 mg | 1 fiol.po 15 ml | — | 1116.0, Natalizumab | ██████████ |
| Sekukinumab | XXX, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml | 2 amp.-strz. /2 wstrz. | — | 1180.0, Sekukinumab | ██████████ |
| | XXX, roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 300 mg | 1 wstrzykiwacz | — | 1180.0, Sekukinumab | ██████████ |
| | XXX, roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 75 mg | 1 amp.-strz. 0,5 ml | — | 1180.0, Sekukinumab | ██████████ |

4 Wyniki analizy

W Tab. 4 przedstawiono roczne koszty refundacji obecnych preparatów tocilizumabu, omalizumabu, certolizumabu pegolu, natalizumabu i sekukinumabu, oraz prognozowane oszczędności przy założeniu 25% redukcji ceny odpowiedników. Oszacowania przeprowadzono na podstawie raportu Departamentu Gospodarki Lekami (DGL) za okres styczeń-listopad 2023 [Raport refundacyjny 2023].

Szacowana kwota uwolnionych środków wyniesie [redacted]. Tym samym jest to kwota przekraczająca szacowany wzrost kosztów w dwuletnim horyzoncie analizy, związanych z pozytywną decyzją refundacyjną dla wnioskowanej technologii, który na podstawie wyników analizy wpływu na budżet wynosi [redacted].

[BIA Wyndaqel 2024].

Tab. 4. Roczne koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności.

| Lek | Redukcja ceny, % | Wartość refundacji za ostatnie 12 miesięcy, PLN | Wartość refundacji po wprowadzeniu redukcji, PLN | Oszczędności, PLN |
|------------|------------------|---|--|-------------------|
| [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] |

PLN – polski złoty.

Spis tabel

| | |
|--|----|
| Tab. 1. Dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ w perspektywie I i II roku analizy [BIA Wyndaqel 2023]. | 7 |
| Tab. 2. Wartość refundacji w ciągu 12 miesięcy*..... | 8 |
| Tab. 3. Prognoza wartości refundacji nowych preparatów w ciągu 12 miesięcy. | 8 |
| Tab. 4. Roczne koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności. | 10 |

Bibliografia

- BIA Vyndaqel 2024** Dobek A, Miros J, Tabor B, Jakubczyk M, Niewada M. Tafamidis (Vyndaqel®) w leczeniu kar-diomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej. Analiza wpływu na budżet. Warszawa, 2024.
- Raport refundacyjny 2023** <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8550.html>
ostatni dostęp: 14.02.2024
- GaBI 2016a** GaBi. Biosimilars of natalizumab. Posted 11/11/2016.
<https://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-natalizumab>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2017b** GaBi. Biosimilars of certolizumab pegol. Posted 21/04/2017.
<https://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-certolizumab-pegol>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2019b** GaBi. BiosanaPharma starts phase I trial for omalizumab biosimilar in Australia Posted 24/05/2019. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/Research/BiosanaPharma-starts-phase-I-trial-for-omalizumab-biosimilar-in-Australia>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2023** Advances for Bio-Thera's secukinumab and mepolizumab copy biologicals <https://www.gabionline.net/biosimilars/news/advances-for-bio-thera-s-secukinumab-and-mepolizumab-copy-biologicals>, ostatni dostęp: 2023.07.04
- GABIONLINE 2018** Generics and Biosimilar Initiative. Patent expiry dates for biologicals: 2017 update. <http://gabi-journal.net/patent-expiry-dates-for-biologicals-2018-update.html>, ostatni dostęp: 2021.05.20
<http://gabi-journal.net/patent-expiry-dates-for-biologicals-2018-update.html>
- Obwieszczenie MZ** Ministerstwo Zdrowia. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 czerwca 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2023 r. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-20-czerwca-2023-r-w-sprawie-wykazu-lekow-refundowanych-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-lipca-2023-r>, ostatni dostęp: 04.07.2023 r.
- 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).