



IGNORANTIA NOCET

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

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia
Wersja 1.2

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, 15.05.2024 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
35 1140 2017 0000 4702 1008 6223

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zmieniona 15 maja 2024 roku w związku z uwagami zawartymi w Piśmie OT.423.1.27.2024.3.MR. Pierwotnie analiza została zakończona 30 października 2023 roku.

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none">⊗ Koncepcja analizy;⊗ Kontrola jakości.
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none">⊗ Koncepcja analizy;⊗ Kontrola jakości;⊗ Zdefiniowanie populacji;⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;⊗ Aspekty etyczne i społeczne
[Redacted]	<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 Pruszkę 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	13
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	18

2.6.2. Koszty czynników VIII	20
2.6.3. Modelowanie/podsumowanie kosztów	21
2.7. Podsumowanie danych wejściowych	22
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....	25
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe.....	25
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe	25
3. Analiza wrażliwości.....	29
4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....	31
5. Aspekty etyczne i społeczne	31
6. Ograniczenia.....	32
7. Podsumowanie i wnioski końcowe.....	33
8. Załączniki	35
8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej ..	35
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań	35
8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej	38
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
■	■

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 powyżej 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 powyżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitorów czynnika VIII.

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

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. W scenariuszu tym, w profilaktyce krwawień u chorych powyżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII spełniających kryteria kwalifikacji uwzględniono stosowanie profilaktyki krwawień czynnikami VIII, mimo, iż leczenie to nie prowadzi do uzyskania jakichkolwiek efektów terapeutycznych, niemniej jednak jest wskazywane przez ekspertów klinicznych ze względu na brak innej efektywnej terapii w tej grupie chorych. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której EMI stosowany w profilaktyce krwawień u chorych powyżej 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. W związku z precyzyjnie określoną wielkością populacji docelowej (dane z ośrodków leczenia hemofilii), warianty te zakładają taką samą liczbę chorych w poszczególnych latach horyzontu czasowego analizy.

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.

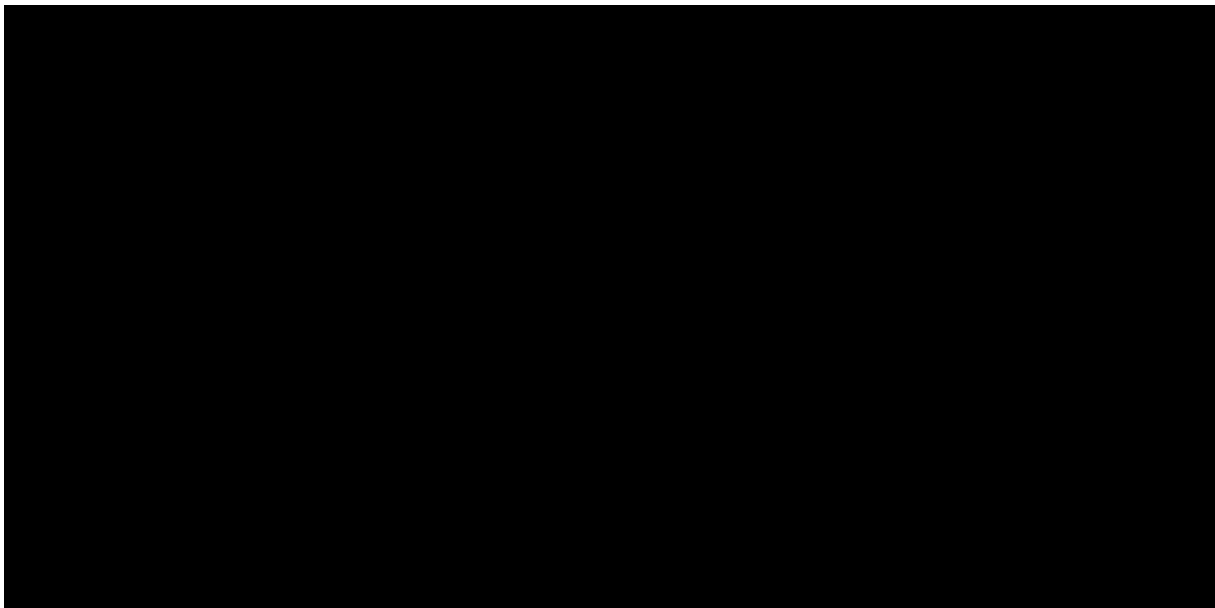
Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie kosztu leków, kosztu podania i przepisania leków oraz kosztu diagnostyki i monitorowania chorych.

[REDACTED]

[REDACTED] Przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

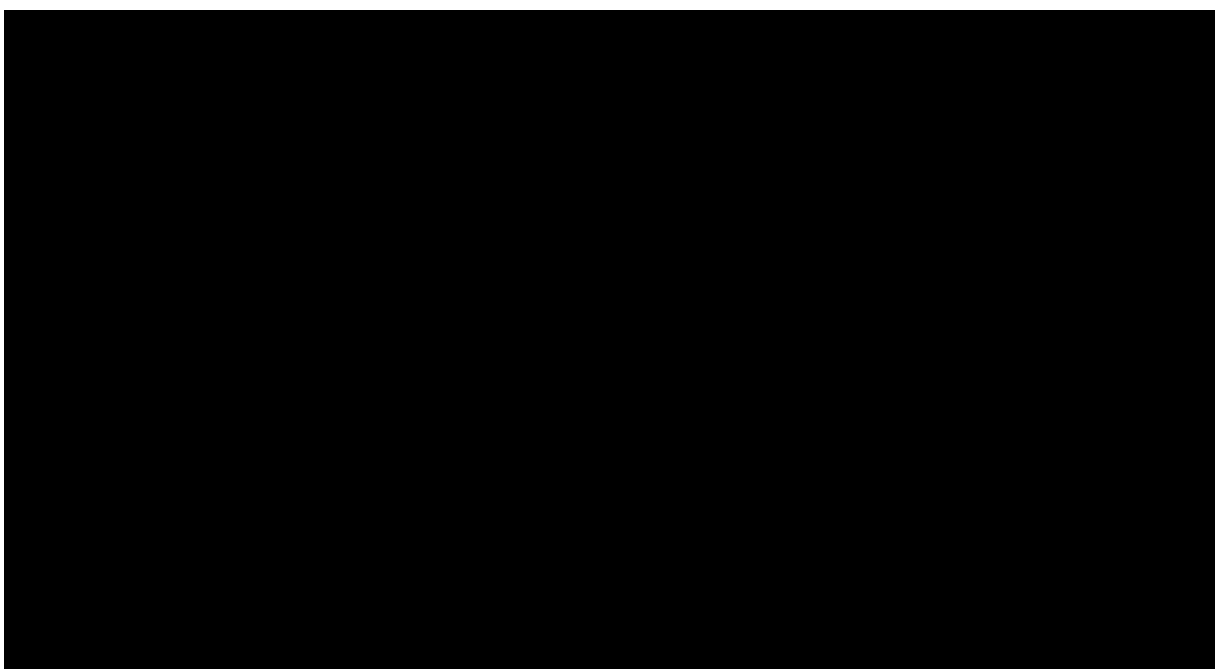
WYNIKI

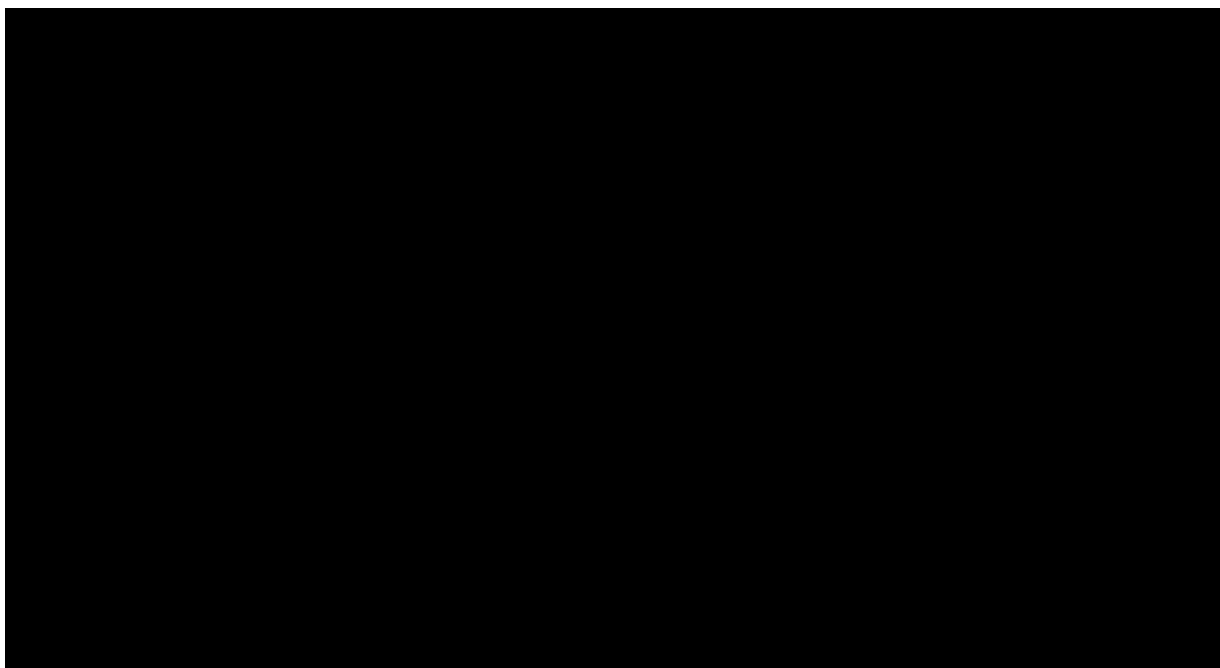
Oszacowanie populacji



*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku wnioskowanego wskazania refundacyjnego

Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego i w perspektywie wspólnej





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]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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 powyżej 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:

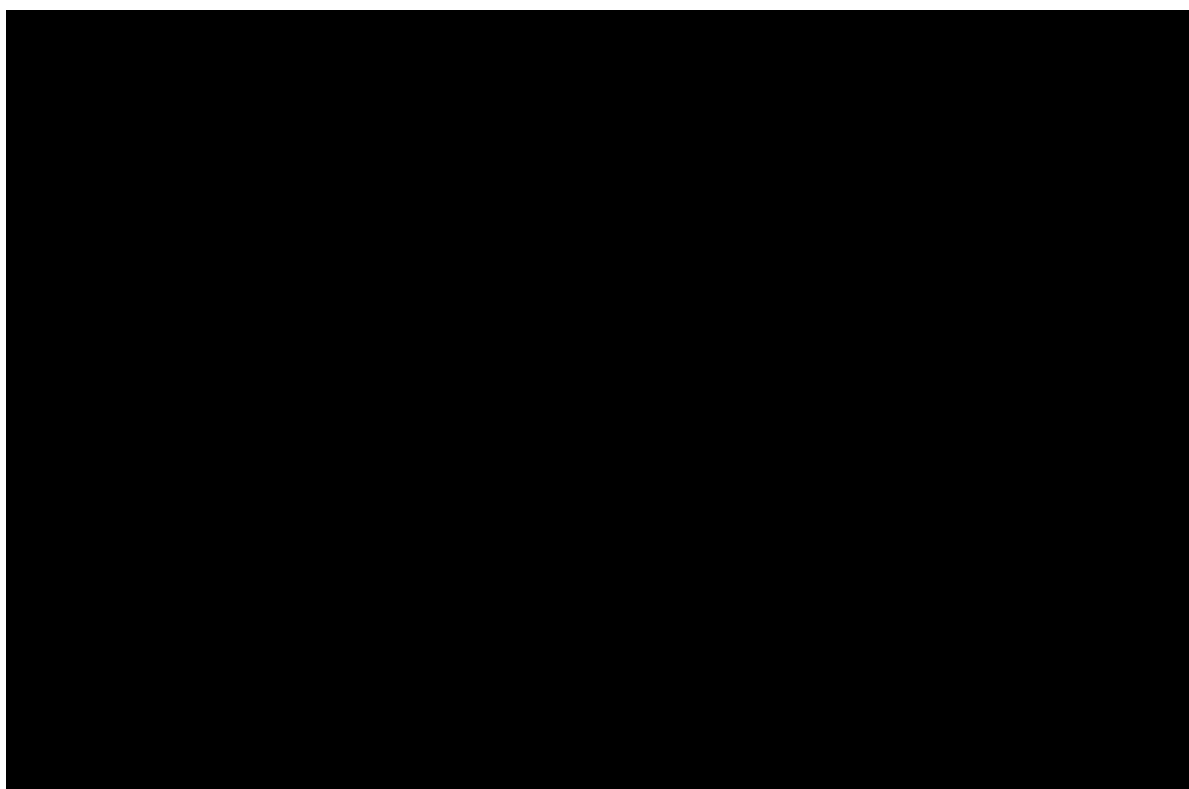
[Redacted content]

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

Analizowane scenariusze (istniejący, nowy), [REDACTED] oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

Rysunek 1.

[REDACTED]



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%);

- o umiarkowana postać choroby (FVIII \geq 1% i \leq 5%) z ciężkim fenotypem krwotocznym.

W analizie przyjęto, iż przybliżeniem wielkości populacji chorych spełniających powyższe kryteria będzie liczebność pacjentów z rozpoznaniem ICD-10 D66 uzyskanych przez AOTMiT na potrzeby opracowania nr: OT.422.0.1.2023a na potrzeby oceny 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: profilaktyka krwawień u chorych na ciężką hemofilię bez inhibitorów czynnika VIII. Łączna liczba pacjentów z rozpoznaniem ICD-10 D66 w 2021, którzy korzystali ze świadczeń opieki zdrowotnej, wyniosła 2 191, w tym 1558 chorych powyżej 18 roku życia. Wartości nie ulegały znaczącym zmianom w latach 2018-2021.

Tabela 1.
Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Wskazanie	Liczba chorych	Źródło
Łącznie	2 191	Opracowanie AOTMiT

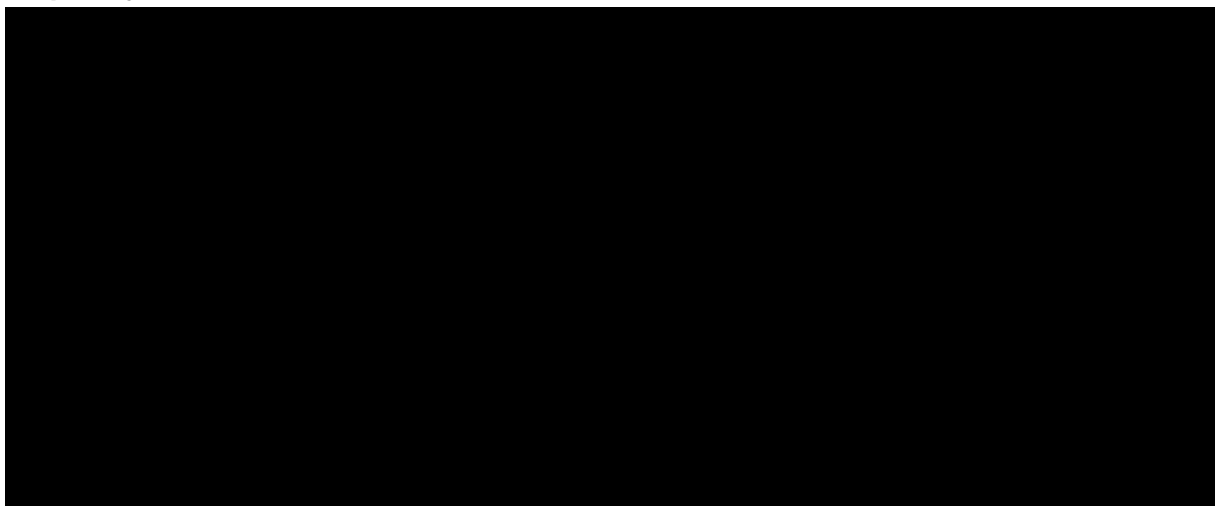
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

W celu oszacowania liczebności populacji docelowej wykorzystano informacje


[Redacted text block]

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.).

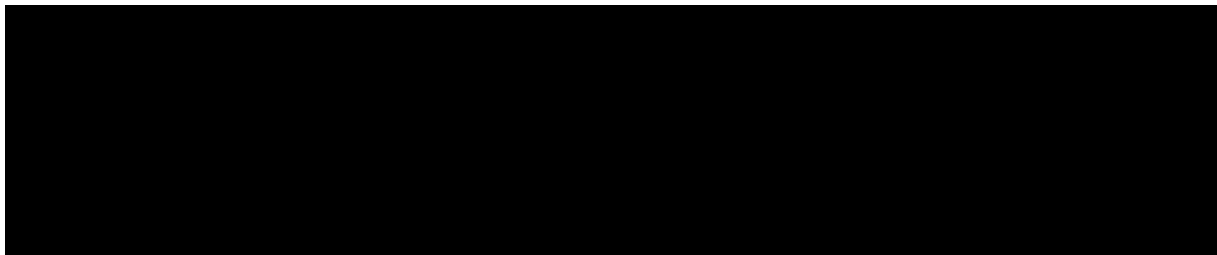
2.5.4.1. Udziały w rynku

Udziały w rynku technologii wnioskowanej i komparatora określono 

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

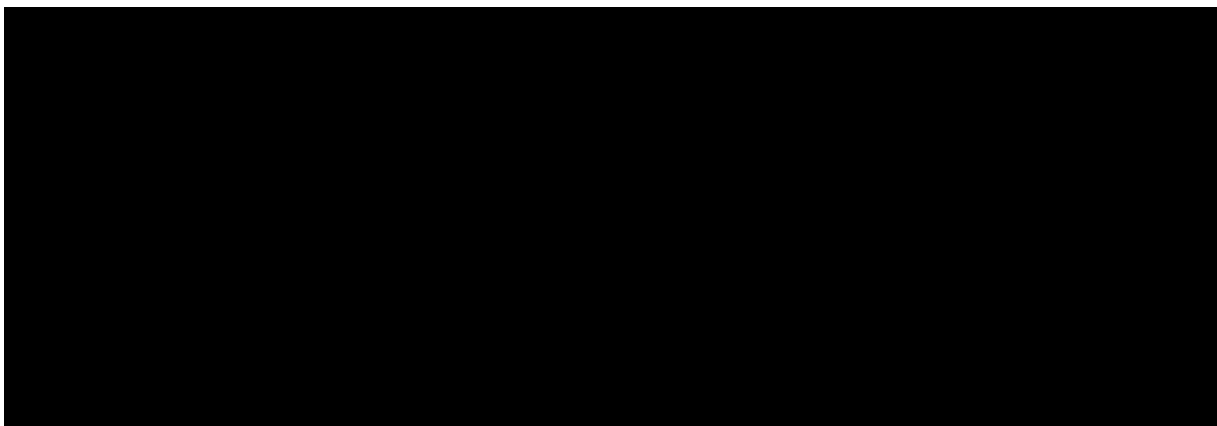
W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji emicizumab, lek ten nie będzie stosowany w populacji dorosłych z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem.



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 w profilaktyce i leczeniu krwawień.

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 powyżej 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 podskórnie: 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.

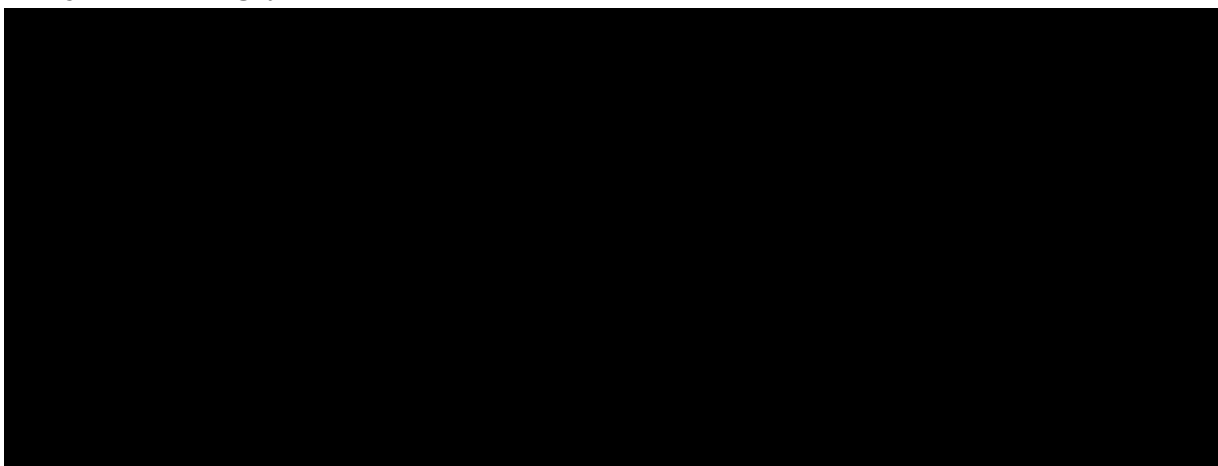
2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji

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.



Ceny leku Hemlibra® zawarto w poniższej tabeli.

Tabela 5.
Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN)



2.6.2. Koszty czynników VIII

PROFILAKTYKA


W analizie uwzględniono dodatkowo koszty stosowania czynników VIII. Przyjęto, iż dawkowanie w profilaktyce wynosi średnio 40 j./kg trzy razy w tygodniu (zakres 20-50 j.) [ChPL Advate, ChPL Elocta]. Koszt jednej jednostki przyjęto zgodnie z danymi uzyskanymi z przetargów [Przetargi]. W tabeli poniżej zestawiono uwzględnione koszty.

Tabela 6.
Koszty czynników VIII (PLN)

Terapia	Dawkowanie (w tygodniu)*	Koszt za j.m.	Koszt na tydzień (PLN)	Koszt roczny (PLN)
Czynniki VIII	9 731,56	0,61	5 936,25	309 745,14

*Przyjęto masę ciała równą ok. 81 kg, zgodnie z danymi z NCK

LECZENIE KRWAWIEŃ

W celu oszacowania kosztów leczenia krwawień w ramieniu wnioskowanej interwencji oraz w ramieniu komparatora uwzględniono roczną liczbę leczonych krwawień [Analiza kliniczna], dawkowanie czynników VIII równe 


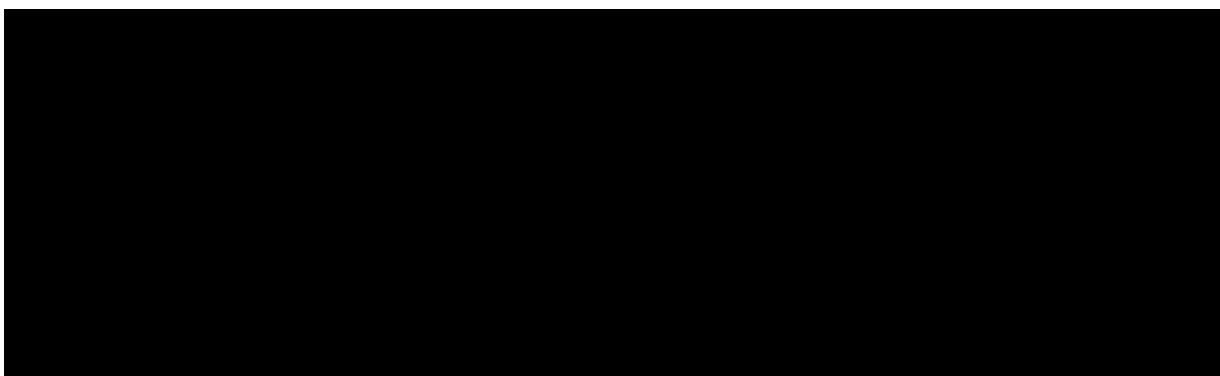
 Koszt za jedną jednostkę czynnika VIII (0,61 PLN) określono na podstawie aktualnych przetargów [Przetargi]. W tabeli poniżej zestawiono oszacowane koszty.

Tabela 7.
Koszty leczenia krwawień



Koszt w perspektywie płatnika publicznego jest tożsamy z kosztem w perspektywie wspólnej.

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, koszty podania/przepisania leku, koszty diagnostyki i monitorowania chorych oraz dodatkowo koszty czynników VIII stosowanych w profilaktyce i leczeniu krwawień.


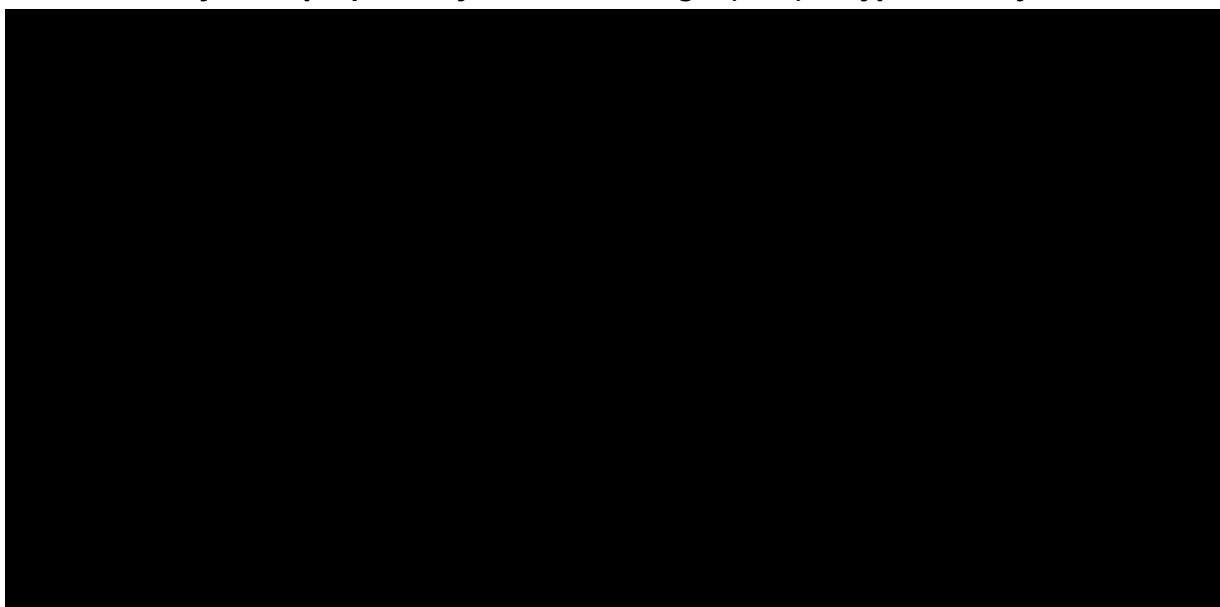
W tabeli poniżej zestawiono całkowite koszty różniące poszczególne terapie, z perspektywy płatnika publicznego (tożsamej z perspektywą wspólną) 

Tabela 8.
Roczne koszty różniące porównywane technologie (PLN) w ujęciu rocznym

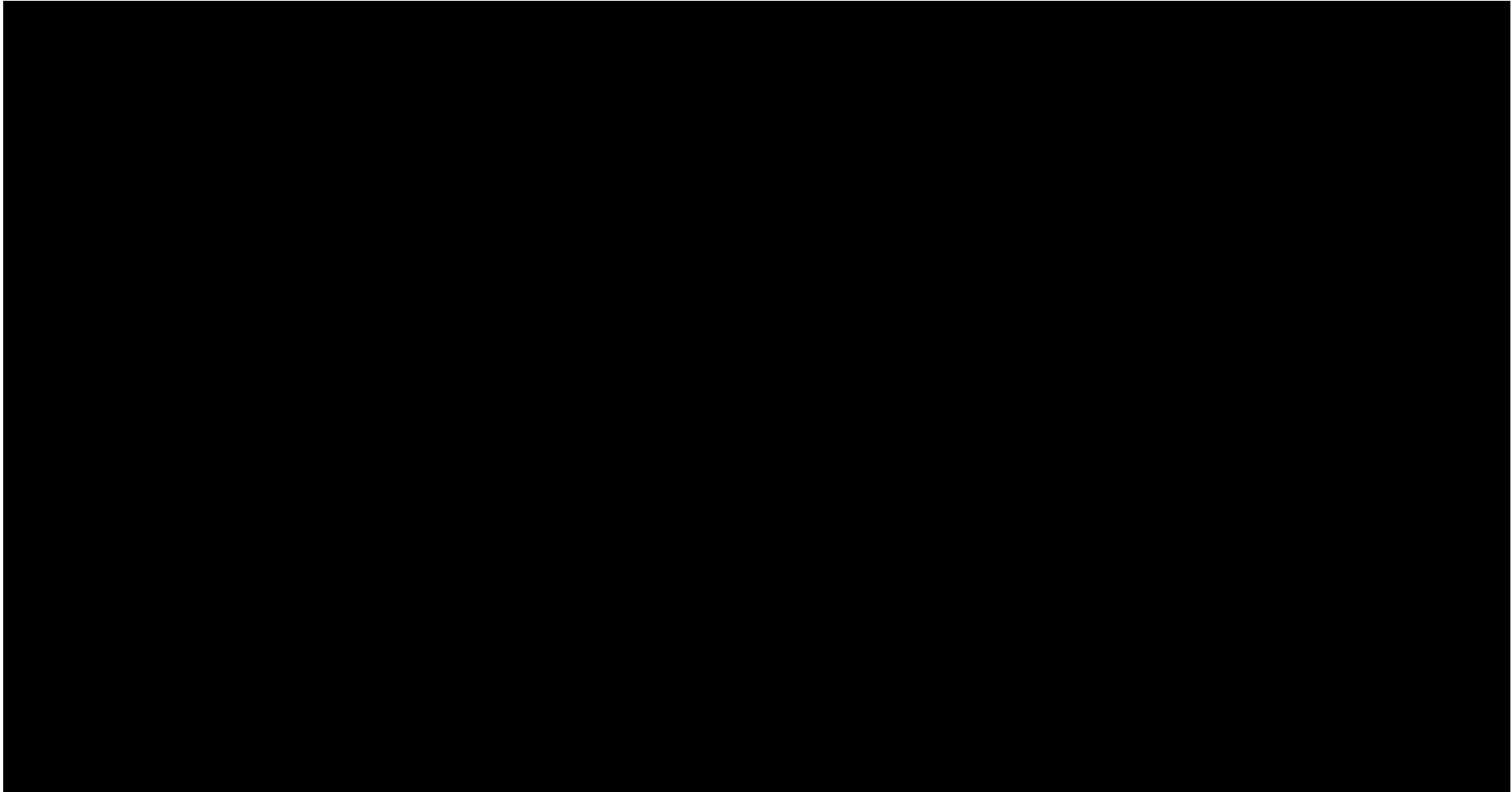


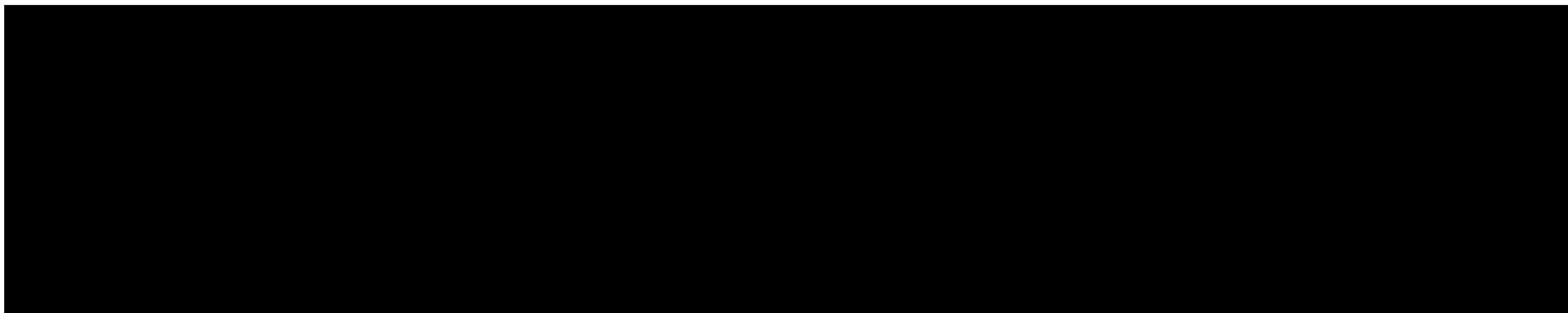
*w scenariuszu istniejącym uwzględniono koszty stosowania czynników VIII, które wskazywane były przez ekspertów klinicznych, niemniej jednak należy podkreślić, że jest to leczenie, które nie prowadzi do uzyskania jakichkolwiek efektów terapeutycznych we wnioskowanej populacji.

2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 9.
Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet





2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowania wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków oraz całkowite koszty różniące leczenie 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. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą [REDACTED]

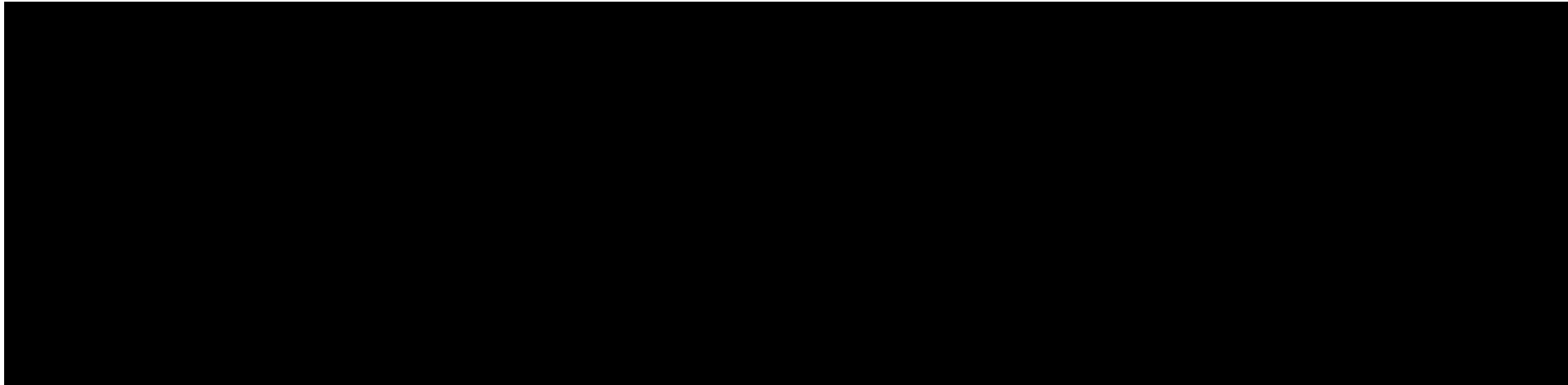
Obecnie EMI nie jest stosowany w analizowanej populacji chorych. Koszt leku jest zatem zerowy.

2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego tożsamej z perspektywą wspólną. Dodatkowo wyniki przedstawiono [REDACTED] w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

Tabela 10.

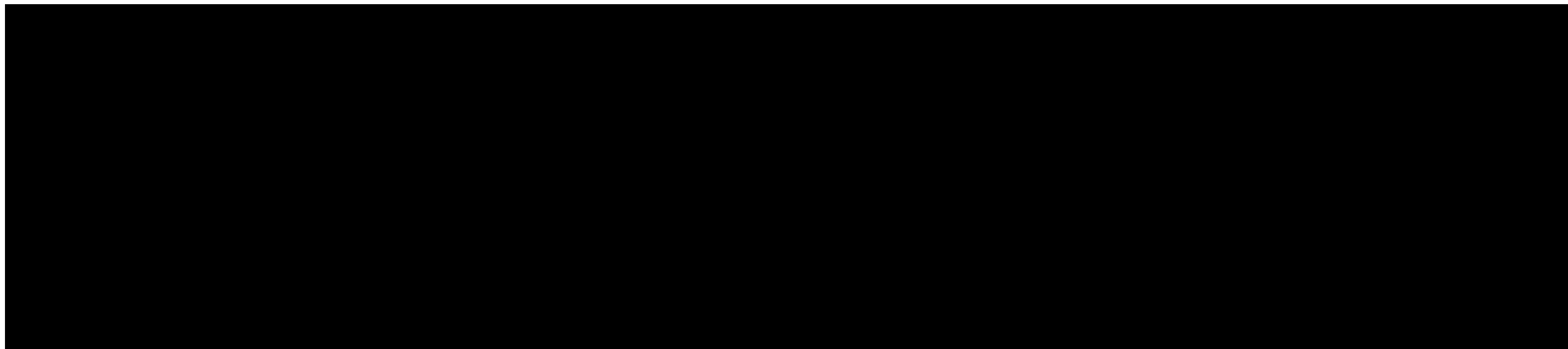
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej 



* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

Tabela 11.

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

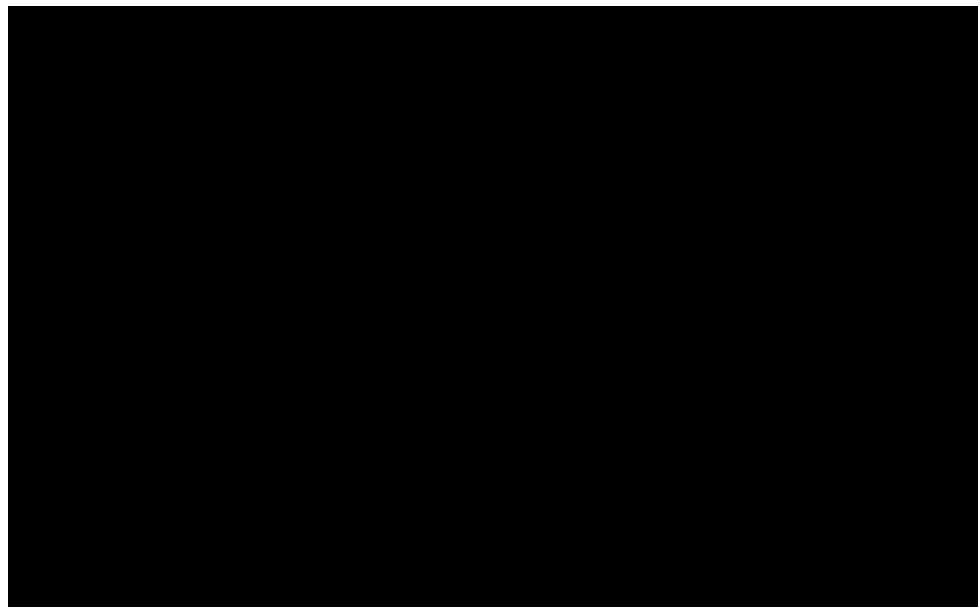


* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

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

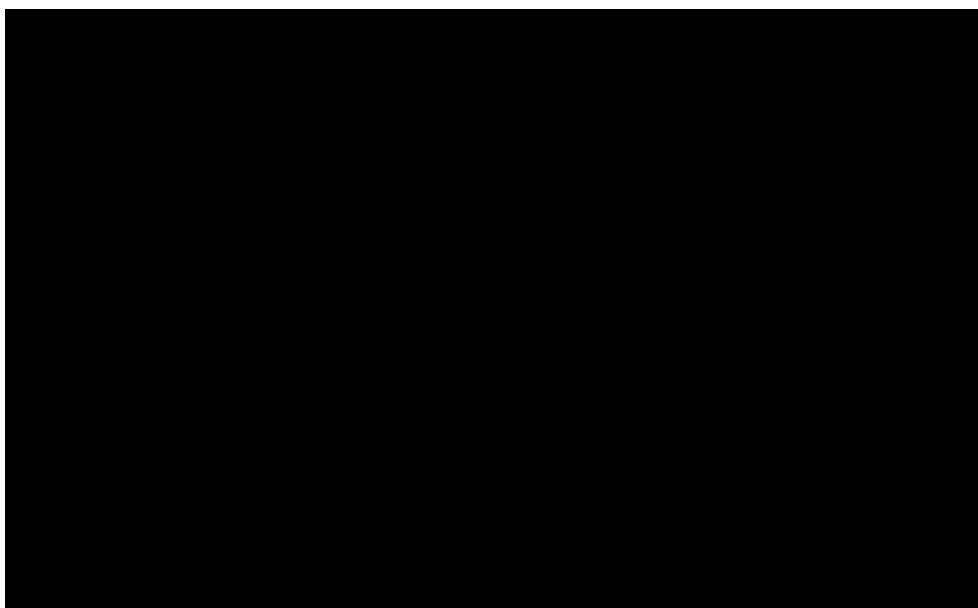
Rysunek 2.

Wyniki analizy wpływu na budżet 

Rysunek 3.

Wyniki analizy wpływu na budżet 

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.



Tabela 12.
Wyniki analizy wrażliwości



Tabela 13.

Wyniki analizy wrażliwości

The table content is completely redacted with a solid black box.

4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Hemlibra® (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych powyżej 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 14.
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 celu oszacowania liczebności populacji docelowej wykorzystano informacje dostarczone



W związku z precyzyjnym określeniem wnioskowanej populacji przyjęto, iż wariant minimalny i maksymalny jest taki sam jak wariant prawdopodobny oszacowania populacji docelowej.

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 powyżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII.

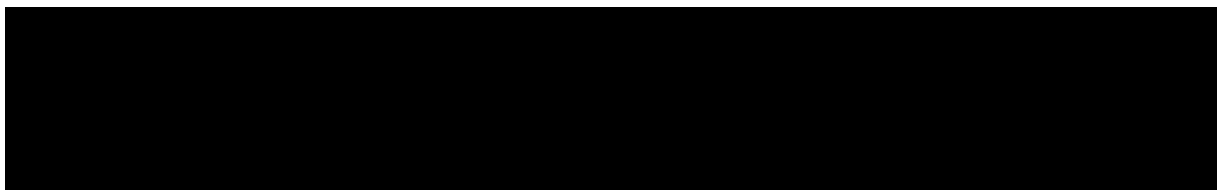
Wpływ na system ochrony zdrowia określono w odniesieniu do następujących obszarów:

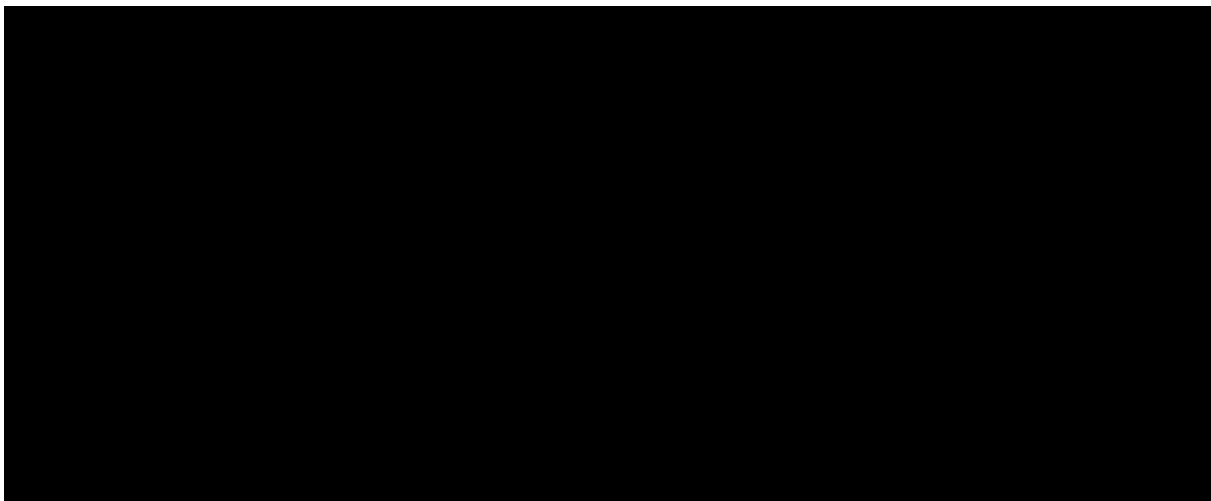
- populacyjnych (oszacowanie potencjału rynkowego leku oraz prognoza liczebności populacji, która prawdopodobnie skorzysta z leku w sytuacji jego sfinansowania);
- finansowych (analiza wpływu na budżet);
- organizacji udzielania świadczeń;
- etycznych i społecznych;

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 *Wytycznych AOTMiT*.


Oszacowanie populacji





*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku wnioskowanego wskazania refundacyjnego

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.

Refundacja technologii wnioskowanej spowoduje zwiększenie wydatków z perspektywy płatnika publicznego (oraz z perspektywy wspólnej) 









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 15.

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 publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.2.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.2.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
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 	■
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 16.

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

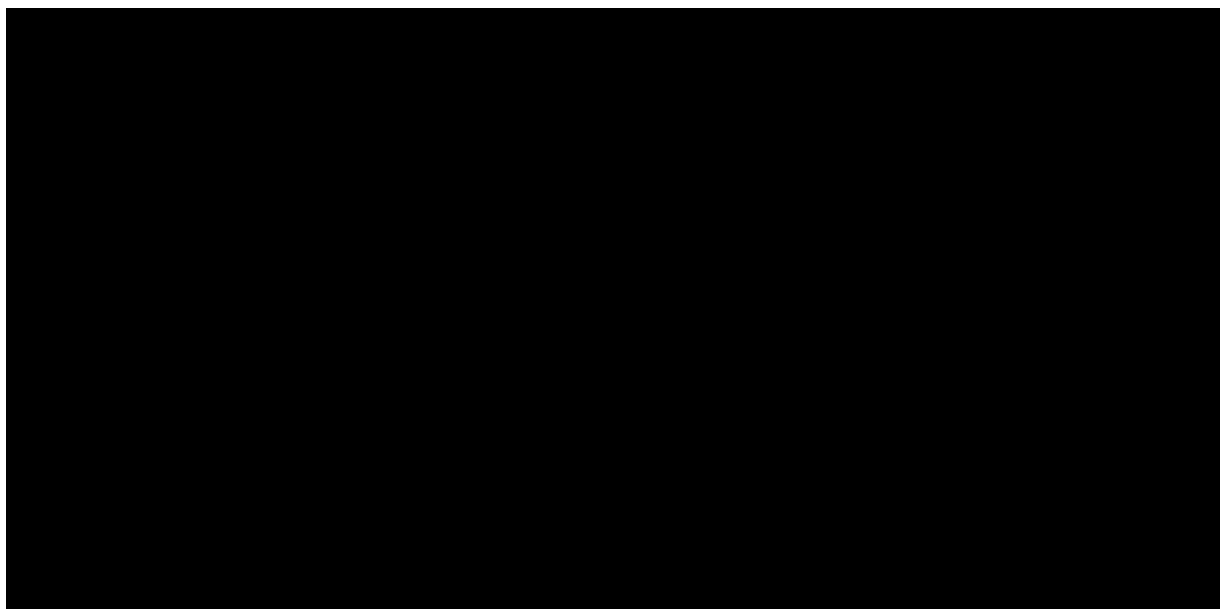


Tabela 17.

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)

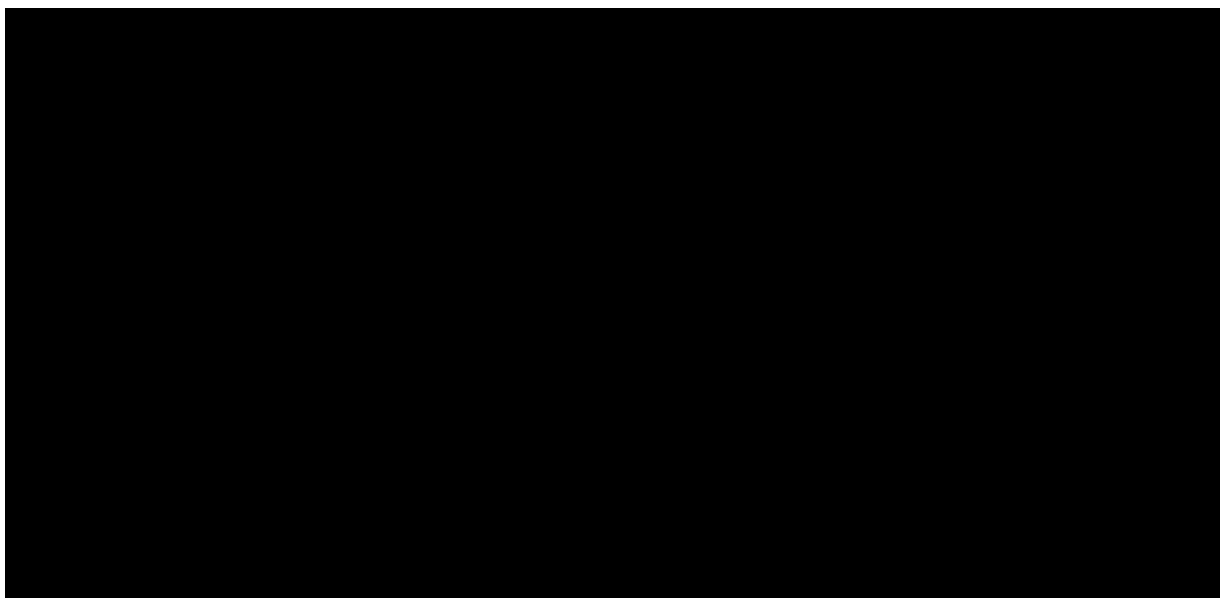


Tabela 18.

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)

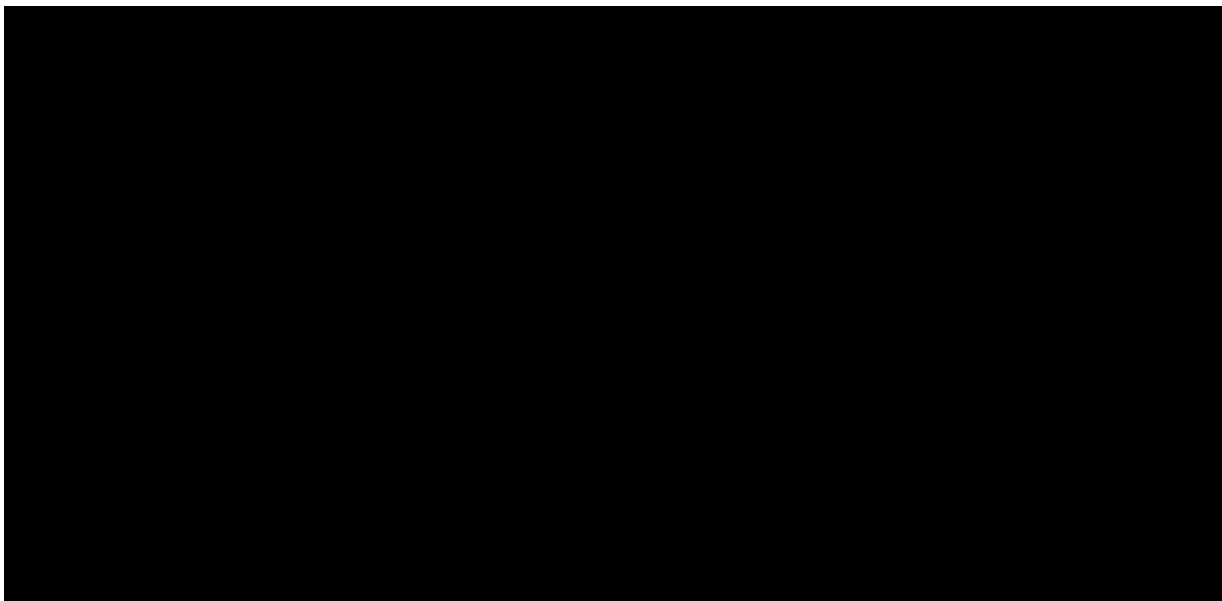
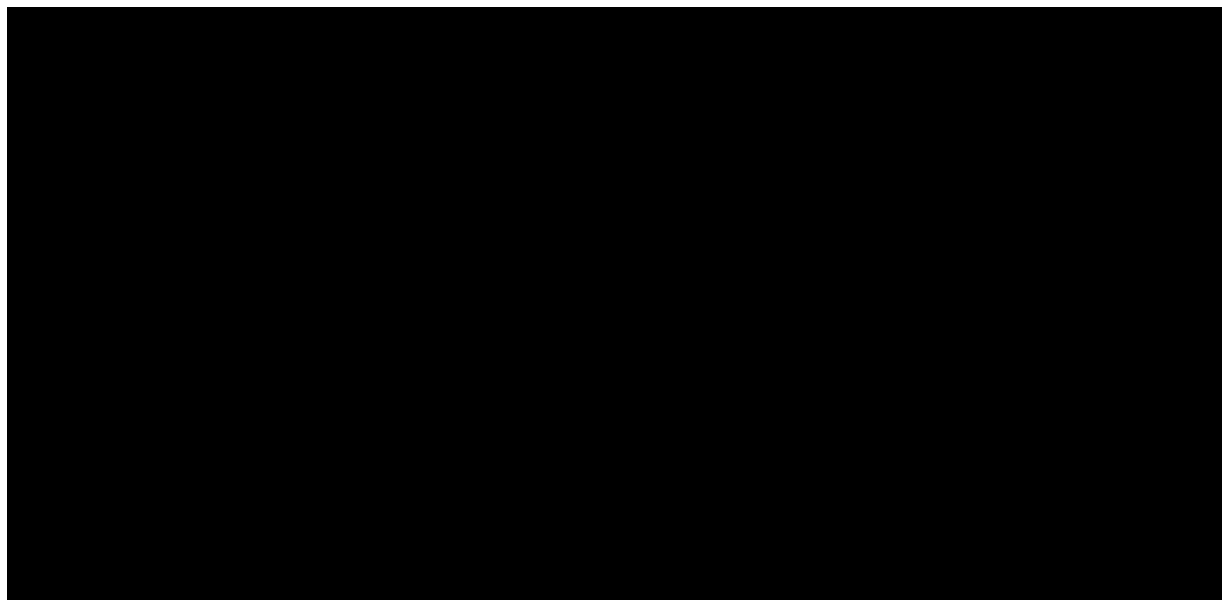


Tabela 19.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiolel. 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 Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań	17
Tabela 5. Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN).....	20
Tabela 6. Koszty czynników VIII (PLN).....	20
Tabela 7. Koszty leczenia krwawień.....	21
Tabela 8. Roczne koszty różniące porównywane technologie (PLN) w ujęciu rocznym.....	21
Tabela 9. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet	23
Tabela 10. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS	26
Tabela 11. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS	26
Tabela 12. Wyniki analizy wrażliwości w wariancie z RSS (perspektywa płatnika publicznego tożsama z perspektywą wspólną).....	29
Tabela 13. Wyniki analizy wrażliwości w wariancie bez RSS (perspektywa płatnika publicznego tożsama z perspektywą wspólną).....	30
Tabela 14. Aspekty społeczne i etyczne.....	32

Tabela 15. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....	35
Tabela 16. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 1 ml 30 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)	38
Tabela 17. 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).....	38
Tabela 18. 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 19. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej Hemlibra® fiol. 1 ml 150 mg/ml, w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)	39

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).....	28
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 powyżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII. <i>Analiza ekonomiczna</i> , MAHTA 2024
Analiza kliniczna	Hemlibra® (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych powyżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII. <i>Analiza kliniczna</i> , MAHTA 2024
Analiza problemu decyzyjnego	Hemlibra® (emicizumab) w profilaktyce krwawień u chorych powyżej 18 roku życia z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII. <i>Analiza problemu decyzyjnego</i> , MAHTA 2024
ChPL Hemlibra®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Hemlibra®
Dane dostarczone przez Wnioskodawcę	Dane otrzymane od Wnioskodawcy w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej, █████
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. do Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 18 marca 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2024 r.
Przetargi	https://zppprzymz.ezamawiajacy.pl/pn/zppprzymz/demand/notice/public/122111/details
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 18 marca 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2024 r.
Wytyczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016