



Tavneos[®] (awakopan) w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń lub mikroskopowym zapaleniem naczyń

Analiza wpływu na budżet

Warszawa, marzec 2024 (aktualizacja październik 2024)

Autorzy

[REDACTED]
[REDACTED]

Konsultacje projektu

[REDACTED]
[REDACTED]

Dane kontaktowe

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

Zamawiający

Vifor Pharma Management Ltd
Flughofstrasse 61 / 8152 Glattbrugg / Switzerland

Informacje dodatkowe

Opracowanie przygotowane na zlecenie i finansowane przez Vifor Pharma Management Ltd.

Dokument poprawiony i zaktualizowany w związku z pismem AOTMiT OT.423.1.54.2024.4.TG z dnia 27 września 2024 r.

Spis treści

Wykaz skrótów i akronimów	3
Streszczenie	4
1 Cel analizy.....	6
2 Metodyka.....	7
2.1 Populacja	8
2.1.1 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.....	8
2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku.....	8
2.1.3 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana...	8
2.1.4 Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.....	9
2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.....	10
2.2 Opis modelu.....	10
2.3 Perspektywa analizy	11
2.4 Horyzont czasowy analizy.....	11
2.5 Analizowane koszty	11
2.5.1 Koszt wnioskowanego leku.....	12
2.5.2 Podsumowanie danych kosztowych wykorzystanych w modelu.....	14
2.6 Scenariusze analizy	28
2.6.1 Scenariusz istniejący.....	28
2.6.2 Scenariusze nowe	28
3 Wyniki.....	30
3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ	30
3.2 Wariant najbardziej prawdopodobny.....	30
3.3 Wariant minimalny.....	33
3.4 Wariant maksymalny.....	36
4 Ograniczenia i dyskusja.....	39
5 Aspekty etyczne, społeczne, prawne, wpływ na organizację udzielania świadczeń.....	41
6 Wnioski.....	42
Spis tabel	43
Bibliografia	44

Wykaz skrótów i akronimów

AE	zdarzenia niepożądane (ang. <i>adverse events</i>)
ANCA	przeciwciała przeciwko cytoplazmie neutrofili (ang. <i>anti-neutrophil cytoplasmic antibody</i>)
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	analiza weryfikacyjna
BIA	analiza wpływu na budżet
BVAS	<i>Birmingham Vasculitis Activity Score</i>
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
DGL	Departament Gospodarki Lekami
ESRD	schyłkowa niewydolność nerek (ang. <i>end-stage renal disease</i>)
GPA	ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (ang. <i>granulomatosis with polyangiitis</i>)
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HTA	ocena technologii medycznych (ang. <i>health technology assessment</i>)
JGP	Jednorodne Grupy Pacjentów
MPA	mikroskopowe zapalenie naczyń (ang. <i>microscopic polyangiitis</i>)
MPZ	Mapy Potrzeb Zdrowotnych
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PLN	polski złoty
RCT	randomizowane kontrolowane badanie kliniczne (ang. <i>randomized controlled trial</i>)
RSS	instrument dzielenia ryzyka (ang. <i>Risk Sharing Scheme</i>)
SoC	standardowe postępowanie terapeutycznego (ang. <i>standard of care</i>)

Streszczenie

Cel pracy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Tavneos® (awakopan) stosowanego w schemacie opartym na skojarzeniu z rytuksymabem lub cyklofosfamidem w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń lub mikroskopowym zapaleniem naczyń.

Metody

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) w horyzoncie dwóch kolejnych lat (2025-2026). Analizę kosztów terapii lekiem Tavneos® (awakopan) stosowanym w skojarzeniu ze standardowym postępowaniem terapeutycznym przeprowadzono na tle kosztów standardowego postępowania terapeutycznego (SoC, ang. *standard of care*). Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych dostarczonych przez Wnioskodawcę opartych na opiniach ekspertów klinicznych. W analizie uwzględniono koszty związane z zakupem leków (koszt preparatu Tavneos® i koszt preparatów SoC), monitorowaniem i utrzymaniem terapii oraz AE. Dane kosztowe wykorzystane w analizie wpływu na budżet pochodzą bezpośrednio z arkusza kalkulacyjnego modelu ekonomicznego wykorzystanego w analizie ekonomicznej. Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, w którym oszacowano obecne koszty leczenia pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu braku pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii, oraz scenariusze nowe (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w których szacowano koszty terapii przy założeniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii lekowej. Poszczególne warianty scenariusza istniejącego i nowego różnią się liczbą pacjentów, u których występuje ciężka, czynna ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń lub mikroskopowe zapalenie naczyń. W analizie przedstawiono wariant, w którym preparat Tavneos® jest refundowany w ramach nowej grupy limitowej w wykazie B obwieszczenia refundacyjnego w bezpłatnym programie lekowym. Wnioskodawca przewidział schemat podziału ryzyka (RSS).

W niniejszym streszczeniu ograniczono opis wyników do wyników z uwzględnieniem umów podziału ryzyka, ze względu na fakt, iż dla płatnika publicznego są to najistotniejsze i najbardziej informatywne wyniki.

Wyniki

Liczebność docelowej populacji w wariantcie najbardziej prawdopodobnym oszacowano na 550 pacjentów w 1. oraz 2. roku analizy. Liczebność populacji objętej leczeniem z wykorzystaniem Tavneos® oszacowano na ■■■■ pacjentów w 1. roku analizy oraz ■■■■ w 2. roku analizy (wariant najbardziej prawdopodobny).

Dla wariantu **najbardziej prawdopodobnego**, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu **minimalnego**, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu **maksymalnego**, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o ■■■■ i ■■■■ odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Wnioski

Analiza wykazała, że pozytywna decyzja refundacyjna dla preparatu Tavneos® (awakopan) będzie wiązać się ze wzrostem wydatków refundacyjnych o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

1 Cel analizy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Tavneos® (awakopan) stosowanego w schemacie opartym na skojarzeniu z rytuksymabem lub cyklofosfamidem w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowością z zapaleniem naczyń lub mikroskopowym zapaleniem naczyń. Analizę kosztów terapii lekiem Tavneos® (awakopan) przeprowadzono na tle kosztów standardowego postępowania terapeutycznego.

2 Metodyka

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

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

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

2.1 Populacja

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

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, preparat Tavneos® zarejestrowany jest w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń (GPA, ang. *granulomatosis with polyangiitis*) lub mikroskopowym zapaleniem naczyń (MPA, ang. *microscopic polyangiitis*).

Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana odpowiada liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku (szacunki patrz rozdział 2.1.2).

2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla produktu leczniczego Tavneos® brzmi:

- Leczenie dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowym zapaleniem naczyń (MPA).

Do oszacowania liczebności populacji docelowej wykorzystano opinie ekspertów klinicznych, które przekazane zostały przez Wnioskodawcę.

Według ekspertów klinicznych liczebność populacji dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowym zapaleniem naczyń (MPA), u których wystąpił nawrót choroby lub mają przeciwwskazania do stosowania standardowego leczenia (nieskuteczne leczenie 1. linii = brak remisji) w Polsce wynosi od ■ do ■ osób.

Jako wariant minimalny w niniejszej analizie użyto minimalnej wartości z tego przedziału (■ osób), a jako wariant maksymalny - maksymalnej (■ osób). Jako wariant najbardziej prawdopodobny przyjęto średnią z wariantów minimalnego i maksymalnego - ■ osób.

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

Zgodnie z informacjami przedstawionym w aktualnym obwieszczeniu MZ, preparat Tavneos® nie jest obecnie refundowany w Polsce.

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

Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją przeprowadzono w oparciu o dane dotyczące wielkości populacji, która będzie leczona preparatem Tavneos® przekazane przez ekspertów klinicznych.

Zdefiniowano trzy warianty analizy:

- **najbardziej prawdopodobny**, w którym przyjęto wartości liczebności populacji włączanej do terapii, wynikające ze średniej z danych przekazanych przez ekspertów klinicznych;
- **minimalny**, w którym przyjęto, że liczebności populacji włączanej do terapii, będzie wynikała z danych przekazanych przez ekspertów klinicznych (minimalna wartość);
- **maksymalny**, w którym przyjęto, że liczebności populacji włączanej do terapii, będzie wynikała z danych przekazanych przez ekspertów klinicznych (maksymalna wartość).

Dodatkowo na podstawie danych przekazanych przez Wnioskodawcę dotyczących przejmowania rynku przez lek Tavneos® w innych państwach oszacowano, iż wnioskowana technologia medyczna będzie przejmować rynek sukcesywnie, rok do roku, zaczynając od ■■■■ w 1. roku, po ■■■■ w 2. roku.

Tab. 1 Odsetki przejęcia rynku.

	1. rok	2. rok
Procent przejęcia rynku	■■■■	■■■■

Oszacowaną roczną liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przedstawiono w poniższej tabeli – patrz Tab. 2.

Tab. 2. Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją preparatu Tavneos®.

Wariant analizy	Liczebność populacji		Źródło
	1. rok	2. rok	
Najbardziej prawdopodobny	■■■■	■■■■	Liczebności populacji włączanej do terapii na podstawie danych przekazanych przez ekspertów klinicznych oraz danych dotyczących przejęcia rynku pochodzących z innych państw
Minimalny	■■■■	■■■■	
Maksymalny	■■■■	■■■■	

2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji

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

Tab. 3. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji

Populacja	Liczebność populacji		Odnosnik do rozdziału i tabeli
	1. rok	2. rok	
Wszyscy pacjenci, u których wnioskowana technologia może być zastosowana - wariant maksymalny	■	■	Rozdział 2.1.1
Pacjenci ze wskazaniem określonym we wniosku - wariant maksymalny	■	■	Rozdział 2.1.2
Pacjenci, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	0		Rozdział 2.1.3
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym wariant najbardziej prawdopodobny	■	■	Rozdział 2.1.4, Tab. 2
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym wariant minimalny	■	■	
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym wariant maksymalny	■	■	

2.2 Opis modelu

Model analizy wpływu na budżet oparto na założeniach i wynikach modelu analizy ekonomicznej (patrz załączona dokumentacja – analiza ekonomiczna [AE Tavneos]). Analogicznie do modelu ekonomicznego przyjęto cykl analizy trwający 4 tygodnie – właściwy horyzont modelu zamyka się w 52 cyklach tj. 4 latach. W BIA, w zakresie danych kosztowych wykorzystano dane z modelu ekonomicznego tj. koszty w kolejnych cyklach skopiowano z arkuszy kalkulacyjnych modelu ekonomicznego. W analizie uwzględniono koszty związane z: zakupem leków (koszt preparatu Tavneos® i koszt preparatów SoC), monitorowaniem oraz utrzymaniem terapii (koszt monitorowania i utrzymania terapii preparatem Tavneos® i koszt monitorowania i utrzymania terapii SoC) oraz AE (koszty dotyczące terapii preparatem Tavneos® i koszty terapii SoC) – szczegółowe informacje patrz rozdział 2.5.

Kalkulator BIA składa się 6 głównych arkuszy:

- „Ustawienia” – arkusz umożliwiający wybranie wariantu analizy;
- „Populacja” – arkusz z szacunkami populacji docelowej kwalifikującej się do leczenia technologiami uwzględnionymi w analizie;
- „Dane kosztowe” – arkusz z danymi kosztowymi;
- „Wyniki” – arkusz z wynikami analizy;
- „Długość terapii” – arkusz z obliczeniami dotyczącymi długości terapii preparatem Tavneos;
- „Referencje” – arkusz z referencjami prac wykorzystanych w zakresie szacowania liczebności populacji.

Nawigacja pomiędzy arkuszami odbywa się przez zakładkę "NAWIGACJA" na wstążce skoroszytu. Prawidłowe działanie arkusza wymaga włączenia funkcji makr.

Dodatkowo kalkulator zawiera arkusze pomocnicze i obliczeniowe w tym:

- Arkusze pomocnicze:
 - „Wprowadzenie” - arkusz zawierający opis modelu;
- Arkusze z danymi wykorzystywanymi w obliczeniach:
 - „Lista” – arkusz pomocniczy zawierający definicje list rozwijanych uwzględnionych w modelu;
- Arkusze obliczeniowe:
 - „Tavneos - nowy”, „SoC - nowy” – obliczenia dla scenariuszy nowych;
 - „Tavneos - obecny”, „SoC - obecny” – obliczenia dla scenariuszy istniejących;
 - „Tavneos - nowy_op” - arkusz z szacunkami dostaw opakowań.

2.3 Perspektywa analizy

Zgodnie z obowiązującymi przepisami [Rozporządzenie MZ 2021] analizę należy przeprowadzić z perspektywy podmiotu finansującego świadczenia ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ).

Ze względu na zakładany sposób finansowania produktu leczniczego Tavneos[®] (wnioskowane jest finansowanie w ramach nowej grupy limitowej w wykazie B w bezpłatnym programie lekowym) nie dochodzi do współpłacenia przez pacjenta, dlatego nie przeprowadzono dodatkowej analizy kosztów ponoszonych przez pacjenta.

2.4 Horyzont czasowy analizy

W analizie przyjęto dwuletni horyzont obserwacji. Przyjęty horyzont analizy wynika z czasu obowiązywania decyzji refundacyjnej.

2.5 Analizowane koszty

W analizie uwzględniono następujące kategorie kosztów:

- koszt związany z zakupem leków (koszt preparatu Tavneos[®] i koszt preparatów SoC),
- koszt monitorowania i utrzymania terapii,
- koszt związany z AE.

2.5.1 Koszt wnioskowanego leku

2.5.1.1 Uzasadnienie kategorii odpłatności i kwalifikacji do grupy limitowej wnioskowanego leku

Uzasadnienie kategorii odpłatności

Wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej grupy limitowej w ramach wykazu B obwieszczenia refundacyjnego w bezpłatnym programie lekowym.

Zgodnie z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych Minister właściwy do spraw zdrowia, wydając decyzję o objęciu refundacją, dokonuje kwalifikacji leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanego w ramach programu lekowego do odpłatności 0 PLN.

W związku z powyższym, Tavneos kwalifikuje się do poziomu refundacji poziomu refundacji 100% (kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatne).

Uzasadnienie kwalifikacji do grupy limitowej

Wnioskowane jest wprowadzenie finansowania leku Tavneos® ze środków publicznych w leczeniu ciężkiej, czynnej ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń lub mikroskopowego zapalenia w ramach programu lekowego.

1. Nie zidentyfikowano grupy limitowej, w której byłyby leki o tej samej nazwie międzynarodowej lub innej nazwie międzynarodowej, ale podobnym działaniu terapeutycznym i zbliżonym mechanizmie działania do leku Tavneos® - brak spełnienia kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 2 ustawy zezwalających na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej.
2. Nie zidentyfikowano również grupy limitowej, w której byłyby leki uzyskujące podobny efekt zdrowotny lub podobny dodatkowy efekt zdrowotny do leku Tavneos®, pomimo odmiennych mechanizmów działania leków - brak spełnienia kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy zezwalających na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej.

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

W Analizie klinicznej [AK Tavneos] wykazano, że stosowanie awakopanu daje dodatkowe efekty zdrowotne w porównaniu do standardowego postępowania - spełnienie kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 2 pkt 1 ustawy zezwalających na utworzenie nowej grupy limitowej.

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

Kategoria	Tavneos [®] , 30 kaps.	Tavneos [®] , 180 kaps.
Urzędowa cena zbytu [PLN]	██████████	██████████
Cena hurtowa brutto [PLN]	██████████	██████████
Cena detaliczna [PLN]	n.d.	n.d.
Wysokość limitu finansowania [PLN]	██████████	██████████
Odpłatność (%)	██████████	██████████
Wysokość dopłaty świadczeniobiorcy [PLN]	██████████	██████████
Koszt NFZ [PLN]	██████████	██████████

NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia; PLN - Polski Złoty

2.5.2 Podsumowanie danych kosztowych wykorzystanych w modelu

Wszystkie dane kosztowe wykorzystane w analizie wpływu na budżet z wyjątkiem kosztu preparatu Tavneos[®] pochodzą bezpośrednio z arkusza kalkulacyjnego modelu ekonomicznego wykorzystanego w analizie ekonomicznej. Koszty preparatu Tavneos[®] zostały oszacowane przy założeniu, że średni czas terapii wynosi ██████████ (czas terapii obserwowany w innych krajach - dane nieopublikowane, dostarczone przez Wnioskodawcę). Zużycie leku w poszczególnych cyklach dopasowano do tempa obserwowanego w badaniu klinicznym (dane z modelu ekonomicznego skorygowano do ██████████ długości terapii).

Tab. 6 Koszty preparatu Tavneos[®] wykorzystane w analizie.

Rok	Cykl	Koszt preparatu Tavneos [®] [PLN]	
		Bez RSS	Z RSS
1. rok	1	██████████	██████████
	2	██████████	██████████
	3	██████████	██████████
	4	██████████	██████████
	5	██████████	██████████
	6	██████████	██████████
	7	██████████	██████████
	8	██████████	██████████
	9	██████████	██████████
	10	██████████	██████████
	11	██████████	██████████
	12	██████████	██████████
	13	██████████	██████████
2. rok	1-13	██████████	██████████

RSS - instrument dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*)

Zgodnie z założeniami modelu ekonomicznego udział cyklofosfamidu i rytuksymabu w leczeniu obejmującym obie te terapie wynosi po 50%.

Dane ekstrahowano z modelu ekonomicznego dla danych niedyskontowanych („Costs Undiscounted” w arkuszach „Engine others”, „Engine AVA+RTX”, „Engine AVA+CYC”, „Engine RTX+GC” i „Engine CYC+GC”). Dane skopiowano z silników modelu ekonomicznego (komórki: GY21:GY72-HP21:HP72 w arkuszach „Engine AVA+CYC”, „Engine AVA+RTX” i C14:C65-M14:M65 w arkuszu „Engine others” w przypadku ramienia Tavneos oraz komórki GY21:GY72-HP21:HP72 w arkuszach „Engine CYC+GC”, „Engine RTX+GC” w przypadku ramienia SoC).

W tabelach poniżej (Tab. 7, Tab. 8, Tab. 9, Tab. 10) zestawiono dane kosztowe dla poszczególnych cykli terapii wykorzystane w modelu.

Tab. 7. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Tavneos® - populacja AVA+CYC.

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up		
Bez RSS																						
1																						
2																						
3																						
4																						
5																						
6																						
7																						
8																						
9																						
10																						
11																						
12																						
13																						
14																						
15																						
16																						
17																						
18																						
19																						
20																						
21																						
22																						
23																						
24																						
25																						
26																						
27																						

Cykl	Koszty preparatu Taveos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]		
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up				
28																								
29																								
30																								
31																								
32																								
33																								
34																								
35																								
36																								
37																								
38																								
39																								
40																								
41																								
42																								
43																								
44																								
45																								
46																								
47																								
48																								
49																								
50																								
51																								
52																								
Z RSS																								
1																								
2																								
3																								
4																								

Cykl	Koszty preparatu Taveos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]			
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up					
5																									
6																									
7																									
8																									
9																									
10																									
11																									
12																									
13																									
14																									
15																									
16																									
17																									
18																									
19																									
20																									
21																									
22																									
23																									
24																									
25																									
26																									
27																									
28																									
29																									
30																									
31																									
32																									
33																									
34																									

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			Nowy
35																							
36																							
37																							
38																							
39																							
40																							
41																							
42																							
43																							
44																							
45																							
46																							
47																							
48																							
49																							
50																							
51																							
52																							

Tab. 8 Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Tavneos® - populacja AVA+RTX.

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			
Bez RSS																							
1																							
2																							

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]		
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up				
3																								
4																								
5																								
6																								
7																								
8																								
9																								
10																								
11																								
12																								
13																								
14																								
15																								
16																								
17																								
18																								
19																								
20																								
21																								
22																								
23																								
24																								
25																								
26																								
27																								
28																								
29																								
30																								
31																								
32																								

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			
33																							
34																							
35																							
36																							
37																							
38																							
39																							
40																							
41																							
42																							
43																							
44																							
45																							
46																							
47																							
48																							
49																							
50																							
51																							
52																							
Z RSS																							
1																							
2																							
3																							
4																							
5																							
6																							
7																							
8																							
9																							

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]		
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up				
10																								
11																								
12																								
13																								
14																								
15																								
16																								
17																								
18																								
19																								
20																								
21																								
22																								
23																								
24																								
25																								
26																								
27																								
28																								
29																								
30																								
31																								
32																								
33																								
34																								
35																								
36																								
37																								
38																								
39																								

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]		
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up				
40																								
41																								
42																								
43																								
44																								
45																								
46																								
47																								
48																								
49																								
50																								
51																								
52																								

Tab. 9 Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia SoC - populacja CYC+GC.

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]		
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up				
1																								
2																								
3																								
4																								
5																								
6																								
7																								
8																								

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			Nowy
9																							
10																							
11																							
12																							
13																							
14																							
15																							
16																							
17																							
18																							
19																							
20																							
21																							
22																							
23																							
24																							
25																							
26																							
27																							
28																							
29																							
30																							
31																							
32																							
33																							
34																							
35																							
36																							
37																							
38																							

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			Nowy
39																							
40																							
41																							
42																							
43																							
44																							
45																							
46																							
47																							
48																							
49																							
50																							
51																							
52																							

Tab. 10. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia SoC - populacja RTX+GC.

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			
1																							
2																							
3																							
4																							
5																							
6																							
7																							

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			
8																							
9																							
10																							
11																							
12																							
13																							
14																							
15																							
16																							
17																							
18																							
19																							
20																							
21																							
22																							
23																							
24																							
25																							
26																							
27																							
28																							
29																							
30																							
31																							
32																							
33																							
34																							
35																							
36																							
37																							

Cykl	Koszty preparatu Tavneos [PLN]			Koszt leków [PLN]			Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]				Koszt AE - infekcja [PLN]		Koszt AE - zdarzenia CV [PLN]		Koszt AE - choroby kości [PLN]		Koszt AE - choroby oczu [PLN]		Koszt AE - eGFR<50 [PLN]		Koszty AE - badanie ADVOCATE [PLN]	Koszt hospitalizacji [PLN]	
	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	Aktywna choroba	Remisja	Nawrót	ESRD	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up	Nowy	Follow-up			
38																							
39																							
40																							
41																							
42																							
43																							
44																							
45																							
46																							
47																							
48																							
49																							
50																							
51																							
52																							

2.6 Scenariusze analizy

2.6.1 Scenariusz istniejący

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

W scenariuszu istniejącym założono, że we wnioskowanej populacji nie jest refundowane leczenie preparatem Tavneos®, a jedynie stosowana jest SoC.

W scenariuszu istniejącym uwzględniono liczebność populacji docelowej, której szczegółowe uzasadnienie przedstawiono w rozdziale 2.1.2.

Tab. 11. Zestawienie założeń scenariusza istniejącego.

Zmienna	Liczebność w poszczególnych latach analizy	Uzasadnienie parametryzacji
Liczebność populacji docelowej - wariant maksymalny	I rok: ■ II rok: ■	Patrz rozdział 2.1.2
Liczebność populacji stosującej Tavneos®	I rok: 0 II rok: 0	Założenie o braku refundacji Tavneos®

2.6.2 Scenariusze nowe

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

Scenariusz nowy zdefiniowano w niniejszej analizie jako wprowadzenie preparatu Tavneos® do refundacji.

W scenariuszu nowym uwzględniono zmienność parametru:

- liczebność populacji stosującej Tavneos®.

Powyższy parametr posłużył do zdefiniowania trzech wariantów scenariusza nowego: najbardziej prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego – patrz Tab. 12. Uzasadnienie zakresu zmienności testowanych parametrów przedstawiono w poprzednich rozdziałach (rozdział 2.1.4).

Tab. 12. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.

Zmienna	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie parametryzacji
Liczebność populacji docelowej	I rok: ■ II rok: ■	I rok: ■ II rok: ■	I rok: ■ II rok: ■	Patrz rozdział 2.1.2
Liczebność populacji stosującej Tavneos®	I rok: ■ II rok: ■	I rok: ■ II rok: ■	I rok: ■ II rok: ■	Patrz rozdział 2.1.4

3 Wyniki

3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ

Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku oszacowano przy przyjęciu założenia, że 100% oszacowanej populacji docelowej leczonych jest SoC. Roczne wydatki zostały obliczone na podstawie danych dotyczących rocznych kosztów terapii SoC pochodzących z modelu ekonomicznego. Średni roczny koszt pomnożono przez liczbę pacjentów ze wskazaniem określonym we wniosku w wariancie najbardziej prawdopodobnym, uzyskując w ten sposób szacowane roczne koszty terapii SoC. Koszty te wynoszą około [REDACTED]. Koszt refundacji terapii lekiem Tavneos® (awakopan) we wnioskowanym wskazaniu wynosi 0 PLN.

3.2 Wariant najbardziej prawdopodobny

Dla wariantu analizy bez uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 11 951 483 PLN i 42 122 304 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu analizy z uwzględnieniem RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Szczegółowe wyniki przedstawiono w Tab. 13.

Tab. 13 Zestawienie wyników analizy dla wariantu najbardziej prawdopodobnego.

Kategoria kosztów	Tavneos®		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	0	0	0	0	0	0
Koszt leków [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	11 951 483	42 122 304
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	0	0	0	0	0	0

Kategoria kosztów	Tavneos®		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Koszt leków [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████

SoC - standardowe postępowanie terapeutyczne (ang. *standard of care*); RSS - instrument dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*)

3.3 Wariant minimalny

Dla wariantu analizy bez uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 10 896 940 PLN i 38 395 291 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu analizy z uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Szczegółowe wyniki przedstawiono w Tab. 14.

Tab. 14 Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego.

Kategoria kosztów	Tavneos®		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	0	0	0	0	0	0
Koszt leków [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	10 896 940	38 395 291
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	0	0	0	0	0	0

Kategoria kosztów	Tavneos®		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Koszt leków [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████

SoC - standardowe postępowanie terapeutyczne (ang. *standard of care*); RSS - instrument dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*)

3.4 Wariant maksymalny

Dla wariantu analizy bez uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 13 006 026 PLN i 46 025 074 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu analizy z uwzględnieniem RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Szczegółowe wyniki przedstawiono w Tab. 15.

Tab. 15 Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego.

Kategoria kosztów	Tavneos®		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	0	0	0	0	0	0
Koszt leków [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	13 006 026	46 025 074
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	0	0	0	0	0	0

Kategoria kosztów	Tavneos®		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Koszt leków [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	0	0	██████	██████	██████	██████
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Tavneos [PLN]	██████	██████	0	0	██████	██████
Koszt leków [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszty monitorowania i utrzymania terapii [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Koszt AE [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████
Łączny koszt w danym roku analizy [PLN]	██████	██████	██████	██████	██████	██████

SoC - standardowe postępowanie terapeutycznego (ang. *standard of care*); RSS - instrument dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*)

4 Ograniczenia i dyskusja

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Tavneos® (awakopan) w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń lub mikroskopowym zapaleniem naczyń.

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) w horyzoncie czterech kolejnych lat. Analizę kosztów terapii lekiem Tavneos® (awakopan) przeprowadzono na tle kosztów standardowego postępowania terapeutycznego. Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie opinii ekspertów klinicznych, które przekazane zostały przez Wnioskodawcę. W analizie uwzględniono koszty związane z zakupem leków (koszt preparatu Tavneos® i koszt preparatów SoC), monitorowaniem i utrzymaniem terapii oraz AE. Wszystkie dane kosztowe wykorzystane w analizie wpływu na budżet z wyjątkiem kosztu preparatu Tavneos® pochodzą bezpośrednio z arkusza kalkulacyjnego modelu ekonomicznego wykorzystanego w analizie ekonomicznej. Koszty preparatu Tavneos® zostały oszacowane przy założeniu, że średni czas terapii wynosi 10 miesięcy (czas terapii obserwowany w innych krajach - dane nieopublikowane, dostarczone przez Wnioskodawcę). Zużycie leku w poszczególnych cyklach dopasowano do tempa obserwowanego w badaniu klinicznym (dane z modelu ekonomicznego skorygowano do 10-miesięcznej długości terapii). Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, w którym oszacowano obecne koszty leczenia pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu braku pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii, oraz scenariusze nowe (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w których szacowano koszty terapii przy założeniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii lekowej. Poszczególne warianty scenariusza istniejącego i nowego różnią się liczbą pacjentów, u których występuje ciężka, czynna ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń lub mikroskopowe zapalenie naczyń. W analizie przedstawiono wariant, w którym preparat Tavneos® jest refundowany w ramach nowej grupy limitowej w wykazie B obwieszczenia refundacyjnego w bezpłatnym programie lekowym. Wnioskodawca przewidział schemat instrumentu podziału ryzyka (RSS).

Dla wariantu **najbardziej prawdopodobnego**, w przypadku uwzględnienia RSS, pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii (Tavneos®) wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu **minimalnego**, w przypadku uwzględnienia RSS, pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii (Tavneos®) wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu **maksymalnego**, w przypadku uwzględnienia RSS, pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii (Tavneos®) wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

W zakresie ograniczeń analizy należy wymienić następujące kwestie:

- Niepewności dotyczące rzeczywistego stosowania leku - w analizie wykorzystano dane z modelu ekonomicznego opartego na badaniach klinicznych.
- Niepewność dotycząca liczebności populacji pacjentów. Dane dotyczące liczby pacjentów z wnioskowanym wskazaniem oraz włączanej do terapii preparatem Tavneos® pochodzą z opinii ekspertów klinicznych oraz danych sprzedażowych innych państw przekazanych przez Wnioskodawcę. Niepewności odnośnie liczby pacjentów kwalifikujących się do leczenia wnioskowaną technologią testowano w wariancie minimalnym oraz maksymalnym.
- Zgodnie z ustawieniami modelu ekonomicznego, które zostały przyjęte w analizie ekonomicznej [AE Tavneos] koszty AE obejmują leczenie CKD (przewlekła choroba nerek, ang. *chronic kidney disease*) oraz zdarzeń niepożądanych uwzględnionych w badaniu ADVOCATE .
- Koszt ESRD zawarty został w kosztach monitorowania i utrzymania terapii.

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

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

6 Wnioski

Analiza wykazała, że pozytywna decyzja refundacyjna dla preparatu Tavneos® (awakopan) stosowanego w schemacie opartym na skojarzeniu z rytuksymabem lub cyklofosfamidem w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń lub mikroskopowym zapaleniem naczyń będzie wiązać się ze wzrostem wydatków refundacyjnych o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Spis tabel

Tab. 1 Odsetki przejścia rynku.....	9
Tab. 2. Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją preparatu Tavneos®.	9
Tab. 3. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.....	10
Tab. 4 Koszt preparatu Tavneos® (bez RSS).	13
Tab. 5 Koszt preparatu Tavneos® (z RSS).	13
Tab. 6 Koszty preparatu Tavneos® wykorzystane w analizie.	14
Tab. 7. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Tavneos® - populacja AVA+CYC.	16
Tab. 8 Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Tavneos® - populacja AVA+RTX.	19
Tab. 9 Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia SoC - populacja CYC+GC.	23
Tab. 10. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia SoC - populacja RTX+GC.....	25
Tab. 11. Zestawienie założeń scenariusza istniejącego.....	28
Tab. 12. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.	29
Tab. 13 Zestawienie wyników analizy dla wariantu najbardziej prawdopodobnego.	31
Tab. 14 Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego.....	34
Tab. 15 Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego.	37

Bibliografia

- AE Tavneos** Tavneos® (awakopan) w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń lub mikroskopowym zapaleniem naczyń. Analiza ekonomiczna. Warszawa, 2024.
- AK Tavneos** Tavneos® (awakopan) w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, czynną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń lub mikroskopowym zapaleniem naczyń. Analiza efektywności klinicznej. Warszawa, 2024.
- AOTMiT 2016** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), Wersja 3.0, 2016.
- Obwieszczenie MZ** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 września 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 2024 r.
- Rozporządzenie MZ 2021** Rozporządzenie z dnia 8 stycznia 2021 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.
- 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)