

Ekulizumab (Soliris®)
w leczeniu napadowej nocnej
hemoglobinurii

Analiza racjonalizacyjna

Warszawa
październik 2015

Konflikt interesów:

Opracowanie wykonane na zlecenie i finansowane przez:

Alexion Services Europe SPRL

Square De Meeûs 23

Brussels 100

Belgium

Tel.: + 32 02 274 00 66

Fax: +32 02 274 0061

Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:

Michał Opuchlik

Head of Operations in Poland

Email: OpuchlikM-Consultant@alxn.com

Tel.: 600 999 777

Cytowanie:

Eculizumab (Soliris®) w leczeniu napadowej nocnej hemoglobinurii. Analiza racjonalizacyjna.
Warszawa, Październik 2015.

Spis treści

1	Cel analizy	5
2	Wyniki analizy wpływu na budżet.....	6
3	Proponowane rozwiązanie	8
4	Metody.....	12
5	Wyniki analizy racjonalizacyjnej	13
6	Podsumowanie	14
	Spis tabel.....	15
	Spis ilustracji.....	16
	Piśmiennictwo	17

1 Cel analizy

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia wykazała, że finansowanie ze środków publicznych ekulizumabu (Soliris®, Alexion) w ramach dedykowanego programu lekowego w populacji pacjentów z napadową nocną hemoglobinurią (NNH, ang. *paroxysmal nocturnal hemoglobinuria*, PNH) związane jest z dodatkowymi obciążeniami budżetowymi niezależnie od przedstawionego wariantu analizy.¹

Celem analizy racjonalizacyjnej jest przedstawienie rozwiązania, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków finansowych płatnika publicznego w wysokości odpowiadającej dodatkowym kosztom finansowania ekulizumabu (Soliris®) w kolejnych latach.

2 Wyniki analizy wpływu na budżet

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta w 2-letnim horyzoncie czasowym.

Liczebność populacji oszacowano na podstawie opinii ekspertów klinicznych:

[REDACTED]

Liczebność populacji docelowej oszacowano na [REDACTED] chorych w pierwszym roku i [REDACTED] chorych w drugim roku analizy.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem liczebności populacji docelowej, dawkowania ekulizumabu, kosztów nabycia substancji czynnej, kosztów kwalifikacji do programu, kosztów szczepienia, kosztów podania ekulizumabu (u chorych leczonych ekulizumabem) oraz kosztów monitorowania leczenia i kosztów transfuzji, zakrzepicy i schyłkowej niewydolności nerek (u chorych leczonych ekulizumabem i najlepszym leczeniem wspomagającym)

W analizie cenę ex-factory 1 fiolki ekulizumabu (300 mg) przyjęto na poziomie [REDACTED] PLN. Po uwzględnieniu podatku VAT (8%) oraz marży hurtowej ([REDACTED]), cenę hurtową brutto 1 fiolki ekulizumabu (300 mg) przyjęto na poziomie [REDACTED] PLN.

Wprowadzenie finansowania ekulizumabu w ramach dedykowanego programu lekowego w populacji chorych z NNH związane jest z dodatkowymi obciążeniami budżetowymi niezależnie od prezentowanego wariantu analizy.

Największe dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy NFZ uzyskano w wariancie maksymalnym ([REDACTED] chorych w pierwszym roku i [REDACTED] chorych w drugim roku) – odpowiednio [REDACTED] PLN oraz [REDACTED] PLN w kolejnych latach analizy.

Dodatkowe obciążenia budżetowe oszacowane dla scenariusza maksymalnego przedstawiono w poniższej tabeli.

Tab. 1. Wyniki dla scenariusza maksymalnego.

Rok	I	II
Liczba chorych	■	■
Łączny koszt stosowania scenariusza istniejącego, PLN	■	■
Łączny koszt stosowania scenariusza nowego, PLN	■	■
Koszt ekulizumabu, PLN	■	■
Koszt kwalifikacji do programu lekowego, PLN	■	■
Koszt szczepienia, PLN	■	■
Koszt podania ekulizumabu, PLN	■	■
Koszt monitorowania leczenia, PLN	■	■
Koszt transfuzji, PLN	■	■
Koszt BSC (dla chorych nieleczonych aktualnie ekulizumabem), PLN	■	■
Obciążenia budżetowe, PLN	■	■

3 Proponowane rozwiązanie

W ramach analizy racjonalizacyjnej proponowane jest rozwiązanie polegające na wprowadzeniu odpowiedników dla:

- etanerceptu (Enbrel®; grupa limitowa 1050.2);
- rytuksymabu (MabThera®; grupa limitowa 1035.0);
- trastuzumabu (Herceptin®; grupa limitowa 1082.0).

Wygenerowane w ten sposób oszczędności dla płatnika będą wystarczające, aby pokryć dodatkowe wydatki związane z finansowaniem ekulizumabu w ramach wykazu leków refundowanych w populacji chorych z NNH.

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

W analizie wykorzystano oszczędności wynikające z wprowadzenia odpowiedników dla etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu. Wybór leków wynika z terminów wygaśnięcia praw ochrony patentowej dla tych substancji (odpowiednio: luty 2015, listopad 2013 i lipiec 2014), w związku z czym oszczędności dla etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu będą generowane od 2015 roku.^{2,3}

Wybrane leki stosowane są w programach lekowych, co oznacza 100% poziom refundacji (kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatne). W związku z powyższym, wprowadzenie tańszych odpowiedników leków spowoduje obniżenie limitów finansowania ze środków publicznych nie powodując jednocześnie żadnych dodatkowych obciążeń dla świadczeniobiorców.

W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, które mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.⁴

Mając na uwadze specyfikę refundacji leków w programach lekowych (leki wydawane bezpłatnie), należy założyć, że wprowadzenie tańszego odpowiednika spowoduje automatyczne, natychmiastowe obniżenie ceny wszystkich leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do poziomu ceny wprowadzonego odpowiednika – w tym wypadku oznacza to co najmniej 25% redukcję obowiązującej ceny urzędowej leku będącego przedmiotem niniejszej analizy.

W poniższej tabeli przedstawiono zestawienie obecnych cen etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu oraz maksymalne ceny leków w tych grupach limitowych po wprowadzeniu odpowiedników.⁵

Tab. 2. Zestawienie obecnych i nowych (po wprowadzeniu odpowiedników) cen etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu.

Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Kod EAN lub inny kod odpowiadający kodowi EAN	Urzędowa cena zbytu, PLN	Cena hurtowa brutto, PLN	Wysokość limitu finansowania, PLN	Urzędowa cena zbytu odpowiedni ka,* PLN	Wysokość limitu finansowania,* PLN
Etanercept							
Enbrel, roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 50 mg	4 amp.-strz. (+8gazik.z alkoh.)	5909990618255	3 996,00	4195,8	4 195,80	2 997,00	3 146,85
Enbrel, roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 50 mg	4 wstrz. (+8gazik.z alkoh.)	5909990712755	3 996,00	4195,8	4 195,80	2 997,00	3 146,85
Enbrel, proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/ml	4 fiol. + 4 amp.-strz. + 4 igły + 4 nasadki na fiol. + 8 gazików	5909990777938	1 998,00	2097,9	2 097,90	1 498,50	1 573,43
Enbrel, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań do stosowania u dzieci, 10 mg/ml	4 fiol. + 4 amp.-strz. + 4 igły + 4 nasadki na fiol. + 8 gazików	5909990880881	799,20	839,16	839,16	599,40	629,37
Rytuksymab							
MabThera, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg	2 fiol.a 10 ml	5909990418817	2 445,01	2567,26	2 567,26	1 833,76	1 925,45
MabThera, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 500 mg	1 fiol.a 50 ml	5909990418824	6 112,52	6418,15	6 418,15	4 584,39	4 813,61
Trastuzumab							

Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Kod EAN lub inny kod odpowiadający kodowi EAN	Urzędowa cena zbytu, PLN	Cena hurtowa brutto, PLN	Wysokość limitu finansowania, PLN	Urzędowa cena zbytu odpowiednika,* PLN	Wysokość limitu finansowania,* PLN
Herceptin, proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 150 mg	1 fiol.a 15 ml	5909990855919	2 678,40	2812,32	2 812,32	2 008,80	2 109,24

* zmniejszenie limitu finansowania ze względu na zmniejszenie urzędowej ceny zbytu odpowiednika o 25%.

4 Metody

W analizie racjonalizacyjnej przyjęto 2-letni horyzont czasowy obserwacji (I i II rok BIA). Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).

Założono, że uwolnione środki będą na stałym poziomie w kolejnych latach.

Symulację przeprowadzono z uwzględnieniem jedynie kosztów leku, co wynika z braku wpływu proponowanego rozwiązania na inne obszary ochrony zdrowia.

Roczne koszty refundacji leków przyjęto zgodnie z komunikatami DGL za rok 2014 (okres od stycznia do grudnia 2014).^{6,7}

Wyniki przedstawiono w ujęciu rocznym, które pokazuje proporcjonalne oszczędności (uwolnienie środków) wynikające z redukcji cen leku będącego przedmiotem analizy racjonalizacyjnej.

5 Wyniki analizy racjonalizacyjnej

Zgodnie z komunikatami Departamentu Gospodarki Lekami (DGL), określającymi wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii za okres ostatniego roku (styczeń-grudzień 2014), łączne koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu w kolejnych latach analizy wyniosły 523,4 mln PLN rocznie, natomiast szacowane koszty refundacji po redukcji cen wyniosą 456,9 mln PLN rocznie.

Szacowana kwota uwolnionych środków wyniesie ██████████ PLN rocznie, jest to więc kwota przekraczająca szacowany roczny wzrost kosztów związanych z finansowaniem ekulizumabu w populacji chorych z NNH.

W poniższej tabeli przedstawiono koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu oraz prognozowane oszczędności. Oszacowania przeprowadzono na podstawie komunikatu DGL za rok 2014 (okres od stycznia do grudnia 2014).^{6,7}

Tab. 3. Koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu oraz prognozowane oszczędności.

Lek	I rok	II rok
Prognoza refundacji leków oryginalnych, PLN		
Etanercept	████████	████████
Rytuksymab	████████	████████
Trastuzumab	████████	████████
Łącznie	████████	████████
Prognoza refundacji odpowiedników, PLN		
Etanercept	████████	████████
Rytuksymab	████████	████████
Trastuzumab	████████	████████
Łącznie	████████	████████
Oszczędności, PLN		
Etanercept	████████	████████
Rytuksymab	████████	████████
Trastuzumab	████████	████████
Łącznie	████████	████████

6 Podsumowanie

Potencjalne oszczędności dla płatnika publicznego w Polsce wynikające z wprowadzenia odpowiedników dla etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu oszacowano na [REDAKTOWANE] PLN rocznie, a uwolnione środki mogą zostać wykorzystane na finansowanie ekulizumabu w docelowej populacji chorych.

Na poniższym wykresie przedstawiono łączne dodatkowe obciążenia budżetowe związane z finansowaniem ekulizumabu w ramach dedykowanego programu lekowego w populacji chorych z NNH (scenariusz związany z maksymalnymi obciążeniami) oraz łączne oszczędności związane z wprowadzeniem odpowiedników dla etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu w kolejnych latach.

Oszacowane oszczędności wynikające z wprowadzenia odpowiedników dla etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu pozwolą na pokrycie dodatkowych wydatków związanych z finansowaniem ekulizumabu w ramach dedykowanego programu lekowego w populacji chorych z NNH.

Wygenerowane oszczędności przekroczą środki niezbędne do pokrycia obciążeń budżetowych w analizowanym horyzoncie czasowym.



Spis tabel

Tab. 1. Wyniki dla scenariusza maksymalnego.....	7
Tab. 2. Zestawienie obecnych i nowych (po wprowadzeniu odpowiedników) cen etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu.....	10
Tab. 3. Koszty refundacji etanerceptu, rytuksymabu i trastuzumabu oraz prognozowane oszczędności.....	13

Spis ilustracji

Ryc. 1. Dodatkowe obciążenia budżetowe i oszczędności z perspektywy NFZ w kolejnych latach.....	14
---	----

Piśmiennictwo

¹ Ekulizumab (Soliris®) w leczeniu napadowej nocnej hemoglobinurii. Analiza wpływu na budżet. Warszawa, wrzesień 2015.

² <http://www.gabionline.net/Biosimilars/Research/US-54-billion-worth-of-biosimilar-patents-expiring-before-2020> [dostęp 13.08.2015 r.].

³ Mullard A. Can next-generation antibodies offset biosimilar competition? *Nature Reviews Drug Discovery* 11, 426-428 (June 2012).

⁴ 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. <http://isip.sejm.gov.pl/DetailsServlet?id=WDU20111220696> [dostęp 13.08.2015 r.].

⁵ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 26 sierpnia 2015 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 września 2015 r.

<http://www.bip.mz.gov.pl/legislacja/akty-prawne/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-26-sierpnia-2015-r.-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow,-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-dzien-1-wrzesnia-2015-r.> [dostęp 28.08.2015 r.]

⁶ Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ). Komunikaty Departamentu Gospodarki Lekami (DGL). Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach zdrowotnych (lekowych) i chemioterapii (styczeń - grudzień 2014). <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6698.html> [dostęp 13.08.2015 r.]

⁷ Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ). Komunikaty Departamentu Gospodarki Lekami (DGL). Errata do wartości wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach zdrowotnych (lekowych) i chemioterapii (styczeń - grudzień 2014). <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,6715.html> [dostęp 13.08.2015 r.]