

**DEFERAZYROKS W LECZENIU
PRZEWLEKŁEGO OBCIĄŻENIA ŻELAZEM
W WYNIKU TRANSFUZJI KRWI
U DOROSŁYCH**

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

Wersja 1.1

Wykonawca:

MAHTA Sp. z o.o.
ul. Rejtana 17/33
02 - 516 Warszawa
Tel. 22 542 41 54
E-mail: biuro@mahta.pl

Autorzy:



Warszawa, 12 sierpnia 2013

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia została ukończona 7 lutego 2013 roku. W dniu 12 sierpnia 2013 r. analiza została poprawiona w związku z uwagami zawartymi w Piśmie MZ-PLR-460-18357-7/MG/13 z dnia 5 sierpnia 2013 r.

[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez [REDACTED]
[REDACTED]

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy Novartis Poland Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesu.

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie.....	6
1. Cel i zakres analizy	11
2. Horyzont czasowy.....	12
3. Perspektywa	12
4. Populacja	12
4.1. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	12
4.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku.....	14
4.3. Wielkość populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda / nie wyda decyzji o objęciu jej refundacją	16
4.4. Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	17
5. Scenariusze porównywane	17
6. Parametry uwzględniane	21
6.1. Koszty analizowanych technologii medycznych.....	21
6.2. Udziały w rynku analizowanych technologii medycznych	30
7. Wydatki budżetowe	33
7.1. [REDACTED].....	33
7.2. [REDACTED]	35
8. Wyniki.....	36
8.1. Wyniki analizy wpływu na budżet [REDACTED]	36
8.1.1. Perspektywa poszerzona	36
8.1.2. Perspektywa płatnika publicznego	38
8.2. Wyniki analizy wpływu na budżet [REDACTED]	40
8.2.1. Perspektywa poszerzona	40

8.2.2. Perspektywa płatnika publicznego	41
9. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.....	43
10. Aspekty etyczne i społeczne.....	44
11. Podsumowanie i wnioski końcowe	46
12. Załącznik.....	47
12.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej	47
12.2. Aktualne wydatki na leczenie chorych z rozpatrywanej populacji	47
12.3. Wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade®	48
12.3.1. [REDACTED]	48
12.3.2. [REDACTED]	49
12.3.3. [REDACTED]	50
12.4. Prognoza liczby refundowanych opakowań Exjade®	51
12.5. Uzasadnienie różnic między analizą ekonomiczną i analizą wpływu na budżet - [REDACTED]	53
13. Spis tabel	55
14. Spis rysunków.....	59
15. Bibliografia	60

Indeks skrótów

Skrót	Objaśnienie
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych w Polsce
■	■
DSX	deferazyroks
EMA	ang. <i>European Medicines Agency</i> – Europejska Agencja Leków
KKCz	koncentrat krwinek czerwonych
mc	masa ciała
MDS	ang. <i>myelodysplastic syndrome</i> – zespoły mielodysplastyczne
n/d	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
SCA	ang. <i>sickle cell anemia</i> – anemia sierpowatokrwinkowa
WHO	ang. <i>World Health Organization</i> – Światowa Organizacja Zdrowia

Streszczenie

CEL I ZAKRES ANALIZY

Celem analizy jest określenie wpływu na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o rozpoczęciu finansowania deferazyroksu (nazwa handlowa Exjade[®]), stosowanego w leczeniu przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u dorosłych. W analizie uwzględniono sytuację, w której deferazyroks będzie finansowany w ramach *Programu lekowego leczenia przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u osób powyżej 18 roku życia*. Rozważono dwie prezentacje produktu leczniczego Exjade[®]:

- Exjade[®] 250 mg, 28 tabl.;
- Exjade[®] 500 mg, 28 tabl.

Doboru komparatorów dokonano na podstawie *Analizy klinicznej*. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie przedstawiono wpływ na budżet, wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienie aspektów etycznych i społecznych.

METODYKA

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jak również perspektywy poszerzonej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy (dalej nazywanej perspektywą poszerzoną). Przyjęto 2-letni horyzont czasowy obejmujący okres od lipca 2013 do końca czerwca 2014 (I rok) oraz od lipca 2014 do końca czerwca 2015 (II rok).

Populację docelową stanowią chorzy na przewlekłe obciążenie żelazem. Jest ono powikłaniem występującym w następstwie częstych transfuzji krwi.

W analizie uwzględniono dwa scenariusze:

oraz

Dla każdego scenariusza przyjęto również **3 warianty**: minimalny, prawdopodobny i maksymalny, w zależności od wielkości populacji chorych leczonych na przewlekłe obciążenie żelazem.

Do parametrów uwzględnianych w analizie wpływu na budżet należą: wielkość populacji docelowej, koszty związane z leczeniem chorych [REDACTED] oraz rozpowszechnienie poszczególnych technologii medycznych (udziały w rynku).

Wielkość populacji docelowej oparto na [REDACTED] W ramach kosztów związanych z leczeniem rozważono jedynie koszty bezpośrednie, tj. koszty leków oraz koszty ich podania. Udziały w rynku natomiast zostały wyznaczone w oparciu o [REDACTED]

WYNIKI

Rozpoczęcie refundacji preparatu Exjade® w leczeniu chorych na przewlekłe obciążenie żelazem, w porównaniu do sytuacji obecnej, w której preparat ten nie jest finansowany ze środków publicznych, powoduje [REDACTED].

W przypadku rozpoczęcia refundacji **preparatów Exjade®** w omawianym wskazaniu,

[REDACTED]

[REDACTED]

Rozpoczęcie refundacji preparatów **Exjade[®]** w leczeniu chorych na przewlekłe obciążenie żelazem, [REDACTED]

[REDACTED]

WNIOSKI

Pozytywna decyzja dotycząca rozpoczęcia refundacji deferazyroksu (nazwa handlowa Exjade[®]) w leczeniu chorych na przewlekłe obciążenie żelazem prowadzi do [REDACTED] w stosunku do sytuacji obecnej, w której preparat ten nie jest finansowany ze środków publicznych.

Podkreślić należy, że głównym celem leczenia deferazyroksiem [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W przypadku pozytywnej decyzji refundacyjnej odnośnie do preparatu Exjade® chorzy na przewlekłe obciążenie żelazem zyskają zatem dostęp do skutecznej i wygodnej dla nich technologii medycznej, która nie powoduje ich wykluczenia z prawidłowego rytmu życia w społeczeństwie i wpływa na poprawę jakości życia tych chorych.

1. Cel i zakres analizy

Celem analizy jest określenie wpływu na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o rozpoczęciu finansowania deferazyroksu (nazwa handlowa Exjade[®]), stosowanego w leczeniu przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u dorosłych.

W analizie uwzględniono sytuację, w której deferazyroks (DSX) będzie finansowany w ramach *Programu lekowego leczenia przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u osób powyżej 18 roku życia*, co jest wnioskowanym sposobem refundacji leku.

Rozważono dwie prezentacje produktu leczniczego Exjade[®]:

- Exjade[®] 250 mg, 28 tabl.;
- Exjade[®] 500 mg, 28 tabl.

Doboru komparatorów dokonano na podstawie *Analizy klinicznej* [6].

Dokument składa się z analizy wpływu na budżet, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienia aspektów etycznych i społecznych.

2. Horyzont czasowy

Zgodnie z Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM) [1] w analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy obejmujący okres od lipca 2013 do końca czerwca 2015 (zastosowano podział na I rok trwający od lipca 2013 do końca czerwca 2014 oraz II rok trwający od lipca 2014 do końca czerwca 2015).

3. Perspektywa

Analizę wykonano z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, czyli **z perspektywy płatnika publicznego** (zgodnie z art. 14 *Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych* podmiotem zobowiązanym do finansowania świadczeń ze środków publicznych jest płatnik publiczny, czyli Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ) lub właściwi ministrowie), jak również **z perspektywy poszerzonej** obejmującej perspektywę płatnika publicznego i perspektywę pacjenta (świadczeniobiorcy).

4. Populacja

4.1. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Exjade® [2] preparat ten wskazany jest do stosowania w leczeniu przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku częstych transfuzji krwi (≥ 7 ml/kg mc. na miesiąc koncentratu krwinek czerwonych) u pacjentów z ciężką postacią talasemii beta w wieku 6 lat i starszych.

Produkt leczniczy Exjade® jest także wskazany w leczeniu przewlekłego obciążenia żelazem spowodowanego transfuzjami krwi, gdy leczenie deferoksaminą jest przeciwwskazane lub nieodpowiednie, w następujących grupach pacjentów:

- u pacjentów z ciężką postacią talasemii beta z obciążeniem żelazem w wyniku częstych transfuzji krwi (≥ 7 ml/kg mc. na miesiąc koncentratu krwinek czerwonych) w wieku od 2 do 5 lat,
- u pacjentów z ciężką postacią talasemii beta z obciążeniem żelazem w wyniku nieczęstych transfuzji krwi (< 7 ml/kg mc. na miesiąc koncentratu krwinek czerwonych) w wieku 2 lat i starszych,
- u pacjentów z innymi rodzajami niedokrwistości w wieku 2 lat i starszych.

Na podstawie [redacted] obliczono częstość występowania w Polsce poszczególnych rodzajów niedokrwistości wymagających przetoczeń krwi i terapii chelatującej żelazo. Częstości te przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 1.
Liczba dorosłych chorych cierpiących na przewlekłe obciążenie żelazem w Polsce, według schorzeń

[redacted]	[redacted]	
	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Ponieważ talasemia i SCA (ang. *sickle cell anemia* – anemia sierpowatokrwinkowa) są chorobami genetycznymi, dane dotyczące zapadalności pokrywają się z liczbą urodzeń noworodków z tymi schorzeniami [6]. MDS oraz mielofibroza są chorobami

typowymi dla wieku starszego dlatego uznano, że w tej grupie dzieci nie występują. Również anemia aplastyczna pojawia się głównie w wieku ok. 30 lat, więc ze względu na rzadkość występowania w Polsce uznano, że dorośli chorzy stanowią w przybliżeniu całą populację chorych na tę niedokrwistość w Polsce.

Ostatecznie zatem populację, w której technologia docelowa może być stosowana stanowi populacja docelowa określona [REDACTED] oraz dzieci powyżej 2 roku życia cierpiące na niedokrwistości wrodzone. Zaznaczyć należy, że **populacja ta może być przeszacowana ze względu na fakt, że nie wszystkie zachorowania dotyczą ciężkich przypadków anemii wymagających przetoczeń krwi.**

Według szacunków GUS dla roku 2011 r. w Polsce żyje ok. 6 344 174 dzieci w wieku od 2 do 17 lat [8]. Zakładając konieczność wykonywania przetoczeń krwi taką jak w populacji dorosłych chorych, w Polsce ok. 8 dzieci narażonych jest na przewlekłe obciążenie żelazem w wyniku przetoczeń krwi.

Oznacza to, że według szacunków populacja, w której wnioskowana technologia może być stosowana w Polsce wynosi [REDACTED].

4.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Populację docelową w analizie stanowią chorzy na przewlekłe obciążenie żelazem. Jest ono powikłaniem towarzyszącym chorobom, których terapia wymaga regularnych przetoczeń krwi. Szacunkowe dane dotyczące obecnej populacji chorych, wymagających przewlekłych przetoczeń krwi, a w konsekwencji tego leczenia obciążenia żelazem, przedstawiono w poniższej tabeli. [REDACTED]

Tabela 2.

Wielkość populacji chorych na przewlekłe obciążenie żelazem w Polsce

[REDACTED]	[REDACTED]
------------	------------

Źródło: opracowanie na podstawie

[Redacted text block]

Tabela 3.
Szacunki wielkości populacji chorych na przewlekłe obciążenie żelazem w Polsce - w latach 2013 - 2015

4.3. Wielkość populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda / nie wyda decyzji o objęciu jej refundacją

Wielkość populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda / nie wyda decyzji o objęciu jej refundacją będzie iloczynem wyżej wskazanej wielkości populacji docelowej i udziałów jakie w leczeniu rozpatrywanej populacji przejmie Exjade®. Prognozę udziałów, które obejmie Exjade® przedstawiono w rozdziale 6.2. W szczególności, w przypadku niewydania decyzji o objęciu refundacją – spodziewane jest niestosowanie preparatu Exjade® przez populację docelową. W przypadku najbardziej prawdopodobnym z rozważanych opcji scenariusza, w którym minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją produktu leczniczego Exjade®, spodziewane jest

[Redacted text block]

Tabela 4.

Liczba chorych stosujących deferazyroks [Redacted]

	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

Tabela 5.**Liczba chorych stosujących deferazyroks**

4.4. Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Zgodnie z danymi [redacted], deferazyroks (DSX) przyjmuje obecnie w Polsce [redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

5. Scenariusze porównywane

W ramach analizy wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: [redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[Redacted Table Content]

Tabela 6.

[Redacted Table Content]

[Redacted]	[Redacted]
------------	------------

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Dla każdego scenariusza przyjęto również **3 warianty**: minimalny, prawdopodobny i maksymalny, w zależności od wielkości populacji chorych leczonych na przewlekłe obciążenie żelazem.

Analizowane scenariusze oraz ich warianty przedstawiono na poniższym schemacie.

Rysunek 1.

Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet oraz ich opcje i warianty



6. Parametry uwzględniane

Do parametrów uwzględnianych w analizie wpływu na budżet należą:

- wielkość populacji docelowej;
- koszty związane z leczeniem chorych w scenariuszu „istniejącym” i scenariuszu „nowym”;
- rozpowszechnienie poszczególnych technologii medycznych (udziały w rynku).

Wielkość populacji chorych kwalifikujących się do zastosowania produktu Exjade® przedstawiono w rozdziale 4. Natomiast koszty i udziały w rynku przedstawiono w poniższych podrozdziałach.

6.1. Koszty analizowanych technologii medycznych

Podobnie jak w *Analizie ekonomicznej* [11] w ramach analizy kosztów uwzględniono wyłącznie koszty różniące ocenianych technologii medycznych, [REDACTED]

[REDACTED] W przeciwieństwie jednak do *Analizy ekonomicznej*, analiza wpływu na budżet nie uwzględnia kosztów społecznych stosowania wymienionych leków (zgodnie z Wytocznymi AOTM). W związku z tym, do kosztów rozważanych zakwalifikowano wyłącznie koszt leków oraz koszt ich podania (bezpośrednie koszty medyczne, różniące oceniane technologie medyczne).

Dokonano analizy kosztów monitorowania chorych ponoszonych obecnie oraz w ramach programu lekowego. [REDACTED]

Do wyznaczenia kosztów analizowanych technologii medycznych konieczne było określenie kosztu jednostkowego [redacted] oraz schematu dawkowania tych leków.

Koszty jednostkowe analizowanych technologii medycznych

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

Tabela 7.

Koszty poszczególnych opakowań deferazyroksu [redacted] z perspektywy płatnika publicznego i pacjenta

[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]

Tabela 8.
Koszty poszczególnych opakowań deferazyroksu z perspektywy płatnika publicznego i pacjenta

[Redacted text block]

Tabela 9.

Cena opakowania [Redacted]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

Schemat dawkowania analizowanych technologii medycznych

Schematy dawkowania [Redacted] oraz średnie dobowe dawki leków w przeliczeniu na kilogram masy ciała określono w *Analizie ekonomicznej* [11]. Dawki leków wyznaczono w oparciu o [Redacted]

[Redacted]

Tabela 10.

Średnia dobowa dawka [Redacted] wyznaczona w
Analizie ekonomicznej

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted]

Koszt podania analizowanych technologii medycznych

W analizie wpływu na budżet uwzględniono koszty podania poszczególnych leków.

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 11.
Koszty jednostkowe i roczne związane z [Redacted]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

Tabela 12.**Koszty wynikające z konieczności**

	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

Roczne koszty ponoszone przez płatnika publicznego i pacjenta [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 13.

Roczny koszt stosowania porównywanych technologii medycznych w przeliczeniu na jednego pacjenta [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

Roczne koszty ponoszone przez płatnika publicznego i pacjenta [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] przedstawiono w kolejnej tabeli.

Tabela 14.

Roczny koszt stosowania porównywanych technologii medycznych w przeliczeniu na jednego pacjenta [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
------------	------------	------------	------------

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

Roczne koszty ponoszone przez płatnika publicznego i pacjenta [REDACTED]
 [REDACTED]
 [REDACTED] przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 15.
Roczny koszt stosowania porównywanych technologii medycznych w przeliczeniu na jednego pacjenta [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

Roczne koszty ponoszone przez płatnika publicznego i pacjenta [REDACTED] [REDACTED] (uwzględniając podawanie DFO zgodnie z zaleceniami) przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 16.

Roczny koszt stosowania porównywanych technologii medycznych w przeliczeniu na jednego pacjenta [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

6.2. Udziały w rynku analizowanych technologii medycznych

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 17.**Udziały analizowanych technologii medycznych**

	[Redacted]			[Redacted]		
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

Źródło: opracowanie własne

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 18.

Udziały analizowanych technologii medycznych [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]			[REDACTED]		
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

7. Wydatki budżetowe

Na podstawie zdefiniowanej populacji chorych kwalifikujących się do leczenia oraz rocznych kosztów leczenia jednego chorego wyznaczono roczne wydatki budżetowe płatnika w dwuletnim horyzoncie czasowym. Wydatki te będą się różnić w zależności od [REDACTED]. Wydatki przedstawiono z perspektywy poszerzonej (płatnika publicznego i pacjenta), jak również z perspektywy płatnika publicznego.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wspólne wydatki płatnika publicznego i pacjenta [redacted] [redacted] przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 19.

Roczne wydatki [redacted]

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Powyżej przedstawione wydatki perspektywie poszerzonej są równoznacznej z wydatkami płatnika publicznego, przedstawionymi poniżej.

Tabela 20.

Roczne wydatki [redacted]

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Dodatkowo, [redacted] [redacted] [redacted] [redacted] [redacted] przedstawiono w poniższych tabelach.

Tabela 21.

Roczne wydatki [redacted]

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 22.
Roczne wydatki

Źródło: opracowanie własne

[Redacted text block]

Wydatki w perspektywie poszerzonej i w perspektywie płatnika publicznego [Redacted]
[Redacted]
[Redacted] przedstawiono w poniższych tabelach.

Tabela 23.

Roczne wydatki [redacted]

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 24.

Roczne wydatki [redacted]

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 25.

Roczne wydatki [redacted]

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 26.

Roczne wydatki [redacted]

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

8. Wyniki

Na podstawie całkowitych rocznych wydatków [REDACTED] [REDACTED] określono jaki wpływ na koszty leczenia rozpatrywanej populacji wywrze decyzja o rozpoczęciu finansowania preparatu Exjade® ze środków publicznych. Wyniki przedstawiono z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy poszerzonej.

8.1. Wyniki analizy wpływu na budżet [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

8.1.1. Perspektywa poszerzona

W wyniku podjęcia pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji preparatu Exjade® w ramach *Programu lekowego leczenia przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u osób powyżej 18 roku życia* w perspektywie poszerzonej obserwowane będą [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 27.

[REDACTED]

	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

Rozpoczęcie refundacji preparatu Exjade® w leczeniu chorych na przewlekłe obciążenie żelazem, w porównaniu do sytuacji obecnej, [REDACTED]



Rysunek 2.

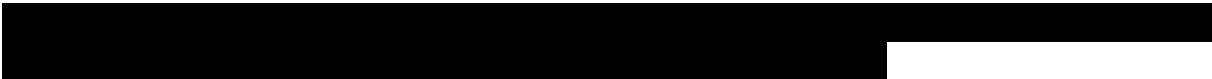


Źródło: opracowanie własne


8.1.2. Perspektywa płatnika publicznego







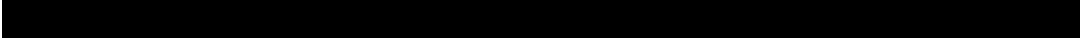

W wyniku podjęcia pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji preparatu Exjade® w ramach *Programu lekowego leczenia przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u osób powyżej 18 roku życia* płatnik publiczny będzie obserwować



Tabela 28.

Źródło: opracowanie własne

Rozpoczęcie refundacji preparatu Exjade® w leczeniu chorych na przewlekłe obciążenie żelazem, w porównaniu do sytuacji obecnej, 

**Rysunek 3.**

Źródło: opracowanie własne

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

8.2. Wyniki analizy wpływu na budżet [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W wyniku podjęcia pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji preparatu Exjade[®], w ramach *Programu lekowego leczenia przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u osób powyżej 18 roku życia*, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

8.2.1. Perspektywa poszerzona

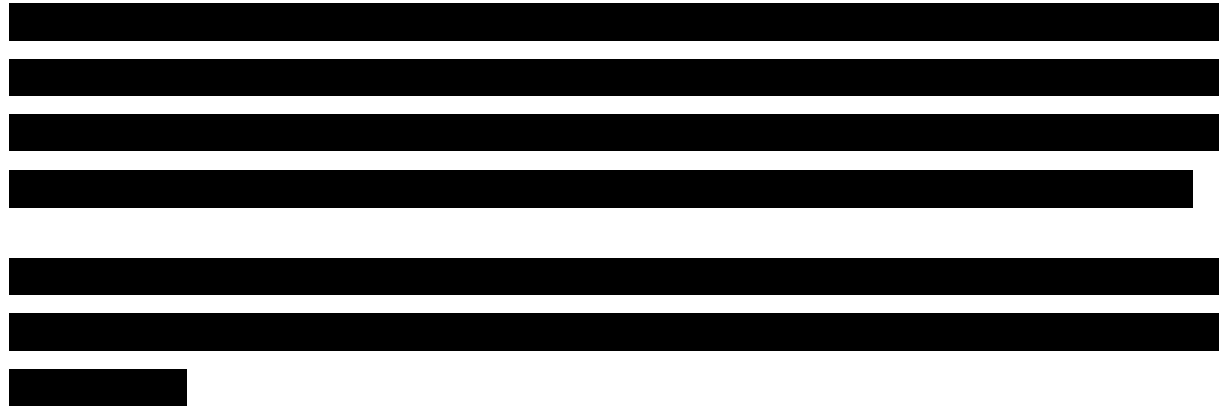
Tabela 29.

[REDACTED]

	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

Rozpoczęcie refundacji preparatu Exjade® w leczeniu chorych na przewlekłe obciążenie żelazem, [REDACTED]



Rysunek 4.



Źródło: opracowanie własne

8.2.2. Perspektywa płatnika publicznego

Tabela 30.



[REDACTED]	[REDACTED]
------------	------------

Źródło: opracowanie własne

Rozpoczęcie refundacji preparatu Exjade® w leczeniu chorych na przewlekłe obciążenie żelazem, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Rysunek 5.

[REDACTED]



Źródło: opracowanie własne

9. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja dotycząca rozpoczęcia finansowania produktu Exjade® w leczeniu przewlekłego obciążenia żelazem u osób powyżej 18 roku życia wpłynie na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

10. Aspekty etyczne i społeczne

Populację docelową dla leku deferazyroks stanowią dorośli chorzy na przewlekłe obciążenie żelazem, nabytym w wyniku transfuzji krwi. Obecnie liczbę chorych w Polsce szacuje się na [REDACTED]. Na podstawie przeglądu światowych wytycznych ustalono, że deferazyroks jest lekiem rekomendowanym w leczeniu przewlekłego obciążenia żelazem [6]. [REDACTED]

[REDACTED]

Rozpoczęcie finansowania leku w ramach *Programu lekowego leczenia przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u osób powyżej 18 roku życia* wpłynie przede wszystkim na sytuację pacjenta. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Deferazyroks jest lekiem, którego podanie jest proste (lek w postaci tabletek przyjmowanych raz dziennie). Finansowanie leku nie nakłada na system ochrony zdrowia dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia. Poprawa jakości życia pacjentów (co zostało udowodnione w *Analizie klinicznej* [6]) związana z łatwą aplikacją leku [REDACTED] w perspektywie społecznej może skutkować zmniejszeniem koniecznej opieki nad chorym oraz zwiększeniem ich aktywności.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Nie odnotowano problemów społecznych, które oceniana technologia mogłaby powodować.

Pozytywna decyzja refundacyjna dotycząca finansowania rozważanej technologii nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi.

12. Załącznik

12.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej

Na podstawie art. 15 *Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (dalej *Ustawa refundacyjna*) należy stwierdzić, że leku Exjade® nie można zakwalifikować do żadnej z obecnie istniejących grup limitowych. Lek Exjade® nie spełnia kryteriów kwalifikacji do wspólnych grup limitowych, o których mowa w art. 15 ust 2 *Ustawy refundacyjnej* 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 preparatów deferyzoksu może nastąpić tylko w drodze utworzenia nowej grupy limitowej. Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Exjade®* stwierdzono, że wskazania do leczenia deferyzoksem nie pokrywają się ze wskazaniami z leków wchodzących w skład żadnej grupy limitowej. Nie jest zatem możliwe włączenie leku Exjade® 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.

12.2. Aktualne wydatki na leczenie chorych z rozpatrywanej populacji

Aktualne wydatki na leczenie chorych z rozpatrywanej populacji, oszacowano na podstawie wielkości populacji i kosztów terapii w 2012 roku. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 31.**Szacunki rocznych wydatków na leczenie chorych z rozpatrywanej populacji chorych, aktualnych na koniec 2012 (w mln PLN) – w perspektywie poszerzonej**

██████████	██
██████████	██
██████████	██

Źródło: opracowanie własne

Tabela 32.**Szacunki rocznych wydatków na leczenie chorych z rozpatrywanej populacji chorych, aktualnych na koniec 2012 (w mln PLN) – w perspektywie płatnika publicznego**

██████████	██
██████████	██
██████████	██

Źródło: opracowanie własne

12.3. Wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade®

W kolejnych podrozdziałach przedstawiono wyszczególnione z całkowitej wielkości wydatków w poszczególnych scenariuszach, wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade®. Przedstawiono także udział tych wydatków w kosztach inkrementalnych.

██

██

wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade® wynoszą ██████, gdyż preparat ten jest nierefundowany i przez to praktycznie niestosowany.

Tabela 33.

Wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade® [redacted] (w PLN)

I	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

[redacted]

[redacted] wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade® będą takie same w perspektywie poszerzonej i w perspektywie płatnika publicznego, [redacted]

Tabela 34.

Wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade® [redacted]

	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 35.

Wydatki związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade® [redacted]

	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Wydatki te będą wynikały z refundacji.

12.3.1. Wydatki inkrementalne

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Tabela 36.

Wydatki inkrementalne związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade® w perspektywie poszerzonej / płatnika publicznego [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 37.

Wydatki inkrementalne związane z pokryciem kosztu preparatu Exjade® w perspektywie poszerzonej / płatnika publicznego [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Źródło: opracowanie własne

12.4. Prognoza liczby refundowanych opakowań Exjade®

W rozdziale tym przedstawiono prognozę liczby refundowanych opakowań Exjade®, z podziałem na sytuacje, w których refundacją objęte byłyby obie prezentacje lub tylko jedna z nich. Koszt tych opakowań został przedstawiony w poprzednim rozdziale.

Tabela 38.

Liczba opakowań Exjade® 500 mg, [redacted]

[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 39.

Liczba opakowań Exjade® 250 mg, [redacted]

[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 40.

Liczba opakowań Exjade® 500 mg i Exjade® 250 mg, [redacted]

[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

Źródło: opracowanie własne

Tabela 41.

Liczba opakowań Exjade® 500 mg,

Źródło: opracowanie własne

Tabela 42.

Liczba opakowań Exjade® 250 mg,

Źródło: opracowanie własne

Tabela 43.

Liczba opakowań Exjade® 500 mg i Exjade® 250 mg,

Źródło: opracowanie własne

12.5. Uzasadnienie różnic między analizą ekonomiczną i analizą wpływu na budżet

[Redacted text block containing multiple paragraphs of blacked-out content]

[Redacted text block]

13. Spis tabel

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

14. Spis rysunków

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

15. Bibliografia

1. [Redacted]
2. [Redacted]
3. [Redacted]
4. [Redacted]
5. [Redacted]
6. [Redacted]
7. [Redacted]
8. [Redacted]
9. [Redacted]
10. [Redacted]

[Redacted text block]

11. [Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]