

ANALIZA WPŁYWU NA BUDŻET

INTERFERON BETA-1A I.M. (AVONEX®) W TERAPII RZUTOWO-REMISYJNEJ POSTACI STWARDNIENIA ROZSIANEGO

Wersja 1.0



HTA Consulting spółka z ograniczoną odpowiedzialnością spółka komandytowa

ul. Starowiślna 17/3
31-038 Kraków
Tel.: +48 (0) 12 421-88-32;
Faks: +48 (0) 12 395-38-32
www.hta.pl

Projekt zakończono 27 stycznia 2014 roku

Uzupełnienie projektu: 7 kwietnia 2014

[Redacted text block]

Zgodnie z procedurami firmy HTA Consulting analizę poddano wewnętrznej kontroli jakości w następujących obszarach:

Kontrola obliczeń: [Redacted]

Kontrola merytoryczna: [Redacted]

Powielanie tego dokumentu w całości, w częściach jak również wykorzystywanie całości tekstu lub jego fragmentów wymaga zgody właściciela praw majątkowych oraz podania źródła.

Analiza została sfinansowana i przeprowadzona na zlecenie:

Biogen Idec Poland Sp. z o.o.

ul. Prusa 2
00-493 Warszawa

Zamawiającego reprezentował:

Cezary Głogowski

Head of Public Affairs

SPIS TREŚCI

INDEKS SKRÓTÓW	5
STRESZCZENIE	6
1. WPROWADZENIE	9
1.1. Cel	9
1.2. Problem zdrowotny	9
1.3. Stan aktualny	10
1.4. Technologia oceniana	13
1.5. Interwencje alternatywne	14
1.6. Kwalifikacja do grupy limitowej	14
2. METODYKA I DANE ŹRÓDŁOWE	15
2.1. Sposób przeprowadzenia analizy	15
2.2. Forma analizy	15
2.3. Perspektywa analizy	15
2.4. Horyzont czasowy analizy	16
2.5. Populacja zgodna ze wskazaniem rejestracyjnym	16
2.6. Populacja docelowa	17
2.7. Zużycie leków	19
2.8. Koszty	23
2.9. [Redacted]	[Redacted]
2.10. Analiza wrażliwości	26
3. WYNIKI	27
3.1. Scenariusz istniejący	27
3.1.1. Populacja i zużycie leków	27
3.1.2. [Redacted]	[Redacted]
3.1.3. [Redacted]	[Redacted]
3.2. Scenariusz nowy	29
3.2.1. Populacja i zużycie leków	29
3.2.2. [Redacted]	[Redacted]
3.2.3. [Redacted]	[Redacted]
3.3. Wydatki inkrementalne	31

4. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI.....	33
5. ANALIZA WPLYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA.....	35
5.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.....	35
5.2. Aspekty etyczne i społeczne	35
6. PODSUMOWANIE I WNIOSKI	37
7. OGRANICZENIA.....	40
8. DYSKUSJA	41
9. BIBLIOGRAFIA	46
10. SPIS TABEL	49
11. ZGODNOŚĆ Z MINIMALNYMI WYMAGANIAMI	50
12. ANEKS	52
12.1. Epidemiologia stwardnienia rozsianego.....	52
12.1.1. Chorobowość.....	52
12.1.2. Zapadalność	54
12.1.3. Umieralność.....	56
12.2. Ograniczenia w dostępie do świadczeń – kolejki.....	57

INDEKS SKRÓTÓW

AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych w Polsce
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
DDD	Zdefiniowana dawka dobową (<i>Defined Daily Dose</i>)
DOT	Dzień leczenia (<i>Day od treatment</i>)
EDSS	Rozszerzona Skala Niepełnosprawności Ruchowej Kurtzkego (<i>Expanded disability status scale</i>)
IFNB	Interferon beta
i.m.	Wstrzyknięcie domięśniowe
MRI	Rezonans magnetyczny (<i>Magnetic resonance imaging</i>)
NICE	Brytyjska agencja oceny technologii medycznych (<i>National Institute for Clinical Excellence</i>)
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
RRSM	Rzutowo-remisyjna postać stwardnienia rozsianego (<i>Relapsing-Remittinf Multiple Sclerosis</i>)
[REDACTED]	[REDACTED]
s.c.	Wstrzyknięcie podskórne
SM	Stwardnienie rozsiane (<i>Sclerosis multiplex</i>)
WHO	Światowa Organizacja Zdrowia (<i>World Health Organization</i>)

STRESZCZENIE

■ Cel

Celem analizy wpływu na budżet jest prognoza wydatków płatnika publicznego (Narodowego Funduszu Zdrowia) związanych z finansowaniem leków immunomodulujących, w szczególności interferonu beta-1a i.m. (preparatu Avonex®), w programie leczenia stwardnienia rozsianego w przypadku całkowitego zniesienia administracyjnego ograniczenia czasu trwania leczenia w tym programie. Obecnie czas leczenia jest ograniczony maksymalnie do 60 miesięcy (5 lat), także w przypadku pacjentów odpowiadających na leczenie.

■ Metodyka

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (NFZ) w 3-letnim horyzoncie czasowym (2014–2016). Analizę opracowano przy założeniu, że zniesienie ograniczeń administracyjnych dla leków w programie leczenia stwardnienia rozsianego obowiązywać będzie począwszy od 1 stycznia 2014 roku i będzie to jedyna zmiana względem aktualnie obowiązującego programu „Leczenie stwardnienia rozsianego”, w szczególności zachowane zostaną kryteria włączenia/wyłączenia z programu.

Rozważono dwa scenariusze analizy: istniejący, w którym interferony beta i octan glatirameru dostępne są w programie leczenia stwardnienia rozsianego na obecnych zasadach, oraz nowy, w którym czas leczenia w programie lekowym nie jest administracyjnie ograniczany (pacjenci korzystają z terapii tak długo, jak długo odnoszą korzyści z leczenia). Wyznaczono ponadto wydatki inkrementalne określające wpływ na budżet rozważanej zmiany programu lekowego.

W oparciu o dane Narodowego Funduszu Zdrowia określono liczebność populacji leczonej interferonem beta i octanem glatirameru w ramach programu lekowego. W celu wyznaczenia liczby pacjentów leczonych w programie lekowym w kolejnych latach wykorzystano dane o dynamice realizacji programu lekowego/terapeutycznego programu zdrowotnego w ubiegłych latach. W latach 2011-2012 programem objęto ok. 4700-4800 osób każdego roku, [REDACTED]

Prognozę sprzedaży i wydatków związanych z realizacją programu leczenia stwardnienia rozsianego w najbliższych latach oparto na danych ze sprawozdań NFZ i komunikatów NFZ. [REDACTED]

Wyniki analizy obejmują całkowite koszty związane z realizacją programu lekowego, tj. koszty leków ponoszone w ramach budżetu na refundację, a także koszty diagnostyki i monitorowania leczenia.

■ Wyniki

Liczba refundowanych rocznych terapii

Liczba rocznych terapii SM (pacjento-lata) w scenariuszu istniejącym określona została na poziomie [REDACTED]. W przypadku zniesienia ograniczenia czasu leczenia w rozważanym programie lekowym dla pacjentów ze stwardnieniem rozsianym liczbę pacjento-lat oszacowano na [REDACTED].

W scenariuszu istniejącym liczba pełnych rocznych terapii realizowanych z zastosowaniem interferonu beta-1a i.m. oszacowana została na [REDACTED] terapii w kolejnych latach prognozy, a w scenariuszu nowym na [REDACTED] w kolejnych latach prognozy.

Wpływ na budżet

Wydatki płatnika publicznego na terapie immunomodulujące w ramach programu leczenia stwardnienia rozsianego w scenariuszu istniejącym, przy utrzymaniu obowiązujących ograniczeń maksymalnego czasu leczenia, [REDACTED] oszacowano na [REDACTED] w 2014 roku, [REDACTED] w 2015 roku i [REDACTED] w 2016 roku, [REDACTED] tych kosztów stanowią wydatki na refundację leków. W tych kwotach odpowiednio [REDACTED] w 2014 roku, [REDACTED] w 2015 roku i [REDACTED] w 2016 roku stanowią wydatki na interferon beta-1a i.m.

Wydatki płatnika publicznego na terapie immunomodulujące w ramach programów leczenia stwardnienia rozsianego w scenariuszu nowym, przy zniesieniu ograniczenia maksymalnego czasu leczenia w programie, [REDACTED] oszacowano na [REDACTED] w 2014 roku, [REDACTED] w 2015 roku [REDACTED] w 2016 roku, [REDACTED] tych kosztów stanowią wydatki na refundację leków. W tych kwotach odpowiednio [REDACTED] w 2014 roku, [REDACTED] 2015 roku i [REDACTED] w 2016 roku stanowią wydatki na interferon beta-1a i.m..

Zniesienie ograniczenia długości leczenia w ramach programu „Leczenie stwardnienia rozsianego” spowoduje wzrost całkowitych kosztów związanych z realizacją tego programu o [REDACTED] w 2014 roku, [REDACTED] w 2015 roku i [REDACTED] w 2016 roku. Wzrost kosztów w ramach budżetu na refundację wyniesie [REDACTED] w 2014 roku, [REDACTED] w 2015 roku i [REDACTED] w 2016 roku.

Wzrost kosztów refundacji interferonu beta-1a i.m. wyniesie [REDACTED] w 2014 roku, [REDACTED] w 2015 roku i [REDACTED] w 2016 roku.

■ Wnioski

Wyniki analizy wskazują, że zniesienie ograniczenia czasu trwania terapii w rozważanym programie lekowym [REDACTED]

Rezygnacja ze sztucznie ustanowionego limitu czasu leczenia pozwoli jednak na kontynuowanie terapii u pacjentów, którzy odnoszą z niej korzyści. Efektywne leczenie pozwoli zwiększyć sprawność ruchową pacjentów ze stwardnieniem rozsianym i powstrzymać lub spowolnić postęp choroby i umożliwi chorym czynne życie i pracę zawodową. Przez zmniejszenie postępu niepełnosprawności pacjenci będą mogli realizować szerszy zakres funkcji społecznych. Umożliwienie aktywności zawodowej osobom ze stwardnieniem rozsianym lub ich bliskim, którzy w przypadku postępu niepełnosprawności musieliby ograniczyć swoją aktywność na rzecz opieki nad chorymi, zmniejszy ponadto koszty społeczne choroby. Ze względów etycznych i społecznych należy rozważyć zniesienie sztucznie ustanowionych ograniczeń w czasie trwania terapii.

1. WPROWADZENIE

1.1. Cel

Celem analizy wpływu na budżet jest prognoza wydatków płatnika publicznego (Narodowego Funduszu Zdrowia) związanych z finansowaniem leków immunomodulujących, w szczególności interferonu beta-1a i.m. (preparatu Avonex®), w programie leczenia stwardnienia rozsianego w przypadku całkowitego zniesienia administracyjnego ograniczenia czasu trwania leczenia w tym programie. Obecnie czas leczenia jest ograniczony maksymalnie do 60 miesięcy (5 lat), także w przypadku pacjentów odpowiadających na leczenie.

1.2. Problem zdrowotny

Stwardnienie rozsiane (*sclerosis multiplex*, SM) jest przewlekłym schorzeniem ośrodkowego układu nerwowego o nieznannej etiologii, charakteryzującym się postępującym i/lub nawrotowym przebiegiem związanym z występowaniem rozszanych ognisk demielinizacji (tzw. demielinizacja pierwotna) w ośrodkowym układzie nerwowym (OUN). [1]

Demielinizacja jest patologicznym procesem polegającym na uszkodzeniu i rozpadzie osłonek mielinowych włókien nerwowych, powodującym powstawanie w OUN zmian ogniskowych nazywanych plakami. Może mieć charakter pierwotny lub wtórny. Demielinizacja pierwotna, o nieustalonym jednoznacznie patomechanizmie, nie powoduje zmian w samej komórce nerwowej, natomiast upośledza funkcję przewodzenia impulsów nerwowych, co w rezultacie powoduje powstanie objawów ubytkowych. Z kolei demielinizacja wtórna, wynikająca z działania na tkankę nerwową czynników toksycznych, niedokrwienia lub zapalenia, prowadzi zarówno do uszkodzenia osłonki mielinowej, jak i całego neuronu, oraz powstania odczynu zapalnego w tkance otaczającej. [1]

Stwardnienie rozsiane jest najczęstszą przyczyną nieurazowej niepełnosprawności w grupie młodych dorosłych. Szacuje się, że na świecie choruje około 9 mln osób, z czego tylko u 3 mln choroba jest rozpoznana. Zachorowalność na stwardnienie rozsiane stale wzrasta. [1]

Analogicznie do większości chorób autoimmunologicznych, SM częściej dotyczy kobiet. Ocenia się, iż stanowią one około 75–80% chorych, a częstość zachorowania w stosunku do mężczyzn wzrasta wraz z wiekiem. Najwyższa zachorowalność dotyczy osób w 3–5 dekadzie życia, choć mogą się zdarzać zachorowania wśród dzieci i młodzieży, jak również u osób w wieku podeszłym. Około 3–18% wszystkich przypadków stwardnienia rozsianego rozpoznawanych jest poniżej 18 roku życia, w tym przedziale wiekowym stwierdza się również wzrost zachorowalności dziewczynek w stosunku do chłopców wraz z wiekiem (tj. zbliżaniem się do wieku pokwitania). [1]

Według danych epidemiologicznych chorobowość SM charakteryzuje również nierównomierny rozkład w zależności od rasy oraz lokalizacji geograficznej – dominuje rasa biała i strefy klimatu chłodnego do umiarkowanego. Największą częstość (30–60 na 100 000 mieszkańców) występowania notuje się w krajach środkowej i północnej Europy, północnej części USA oraz południowej części Kanady. Z kolei w krajach tropikalnych czy Japonii chorobowość wynosi 1/100 000 mieszkańców. Stwierdza się ponadto ogniska epidemiczne zachorowań na SM, tj. obszary, na których współczynnik chorobowości wynosi kilkukrotnie więcej niż na terenach przyległych, osiągając poziom 258/100 000 (m.in.: w Finlandii, Danii, we Włoszech, Chorwacji, Francji, Kanadzie, USA oraz na Orkadach i Szetlandach).

Pod względem chorobowości na SM Polska znajduje się w grupie krajów wysokiego ryzyka. Szczegółowa analiza danych epidemiologicznych dla Polski przeprowadzona została w rozdziale 12.1

1.3. Stan aktualny

Terapia stwardnienia rozsianego z wykorzystaniem leków modyfikujących przebieg choroby jest w Polsce finansowana w ramach dwóch programów lekowych (PL): „Leczenie stwardnienia rozsianego” oraz „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego” [2].

W ramach PL „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego” finansowane są: fingolimod oraz natalizumab. [2]

PL „Leczenie stwardnienia rozsianego” obejmuje finansowanie interferonu beta-1a, interferonu beta-1b oraz octanu glatirameru. [2]

Kryteria kwalifikacji do terapii interferonami beta w ramach PL obejmują [2]:

- wiek od 12. roku życia;
- rozpoznanie postaci rzutowej stwardnienia rozsianego – oparte na kryteriach diagnostycznych McDonalda (Polman 2005 [3]); włącznie z badaniami rezonansem magnetycznym, przed i po kontraście;
- uzyskanie co najmniej 15 punktów według punktowego systemu kwalifikacji określonego w programie (Tabela 1);
- pisemna deklaracja współpracy przy realizacji programu ze strony pielęgniarki podstawowej opieki zdrowotnej obejmującej opieką świadczeniobiorcę.

Kryteria kwalifikacji do terapii octanem glatirameru są takie same jak dla terapii interferonami beta.

Oceny skuteczności leczenia dokonuje się co 12 miesięcy. Brak skuteczności określa się jako wystąpienie jednej z sytuacji:

- 2 lub więcej rzutów umiarkowanych lub 1 ciężki rzut po 6 miesiącach terapii,

- progresja choroby mimo leczenia (wzrost EDSS o 2 punkty, gdy EDSS <4 lub wzrost o 1 punkt gdy EDSS ≥4),
- zmiany w badaniu rezonansu magnetycznego (więcej niż jedna nowa zmiana Gd(+), więcej niż dwie nowe zmiany w sekwencji T2),
- przejście RRSM do SPSM, więcej niż 6 punktów w skali EDSS. [2]

Schemat dawkowania leków w ramach programu lekowego jest zgodny z zapisami charakterystyk produktów leczniczych (ChPL). Leczenie w ramach opisywanego programu trwa do 24 miesięcy z możliwością przedłużenia maksymalnie do 60 miesięcy. Po każdym roku leczenia dokonuje się oceny skuteczności terapii, a w razie stwierdzenia jej braku następuje zmiana leczenia.

Warunkiem przedłużenia terapii powyżej 2 lat jest brak rzutów lub rzuty łagodne, lub 1 rzut umiarkowany lub brak progresji choroby w okresie ostatniego roku leczenia, brak wyraźnych cech aktywności i progresji choroby w badaniu kontrastowym wykonanym rezonansem magnetycznym z gadoliną. [2]

Tabela 1.
Punktowy system kwalifikacji do leczenia interferonem beta

Kryterium	Wartość punktowa	
Czas trwania choroby	0–3 lata	6
	3–6 lat	4
	6–10 lat	2
	Powyżej 10 lat	1
Postać choroby	Rzutowa bez objawów ubytkowych	5
Liczba rzutów w ostatnim roku	≥ 3	5
	1–2	4
	Brak	1
Stan neurologiczny w okresie międzyrzutowym (przy rozpoczęciu leczenia) w skali EDSS	0–2	6
	2,5–4	5
	4,5–5	2
	Powyżej 5	1

Program „Leczenie stwardnienia rozsianego” obowiązuje w obecnym kształcie od 2013 roku, kiedy to rozszerzono zakres refundacyjny dla octanu glatirameru o wszystkich pacjentów leczonych I linią terapii (wcześniej refundowany był tylko w przypadku przeciwwskazań do interferonu beta). **Długość terapii w ramach obowiązującego programu ograniczona jest do maksymalnie 5 lat.** Okres ten został wydłużony z 3 do 5 lat w 2012 roku. W niniejszej analizie rozważa się zniesienie administracyjnego ograniczenia czasu długości terapii w ramach programu „Leczenie stwardnienia rozsianego” (dot. interferonów beta i octanu glatirameru).

W 2011 roku programem leczenia stwardnienia rozsianego w Polsce objętych było niecałe 5 tys. osób (świadczenia w programie rozliczono u 4 941 pacjentów, a wydanie substancji czynnych u 4 765 osób) [4]. Wartość substancji czynnych wydanych w ramach tego programu w roku 2011 wyniosła 127 mln zł i odpowiadała █████ pełnym rocznym terapiom (pacjento-lata). Liczba osób, objętych leczeniem w ramach programu była wyższa niż liczba pacjento-lat ze względu na fakt, że u części pacjentów terapia realizowana była tylko przez część roku kalendarzowego (liczba pacjentów wyższa o ok. █████ niż liczba pacjento-lat). Program obowiązujący w 2011 różnił się od obecnego w zakresie maksymalnego czasu terapii (3 lata) oraz częściowo kryteriami kwalifikacji dot. wieku pacjenta (większe szanse uzyskania zgody na terapię mieli pacjenci młodszy).

W roku 2012 zarówno liczba pacjento-lat terapii, jak i wartość świadczeń związanych z refundacją leków immunomodulujących, była znacznie wyższa niż w roku 2011. Wynikało to zarówno ze zmiany zakresu refundacji (wydłużenie dopuszczalnego czasu leczenia bez konieczności ponownej kwalifikacji, zniesienie ograniczeń wiekowych), jak i z dynamiki włączania pacjentów do programu. Wpływ na wartość udzielonych świadczeń miała również zmiana sposobu rozliczania preparatów immunomodulujących (wprowadzenie programu lekowego w miejsce terapeutycznego programu zdrowotnego).

W 2013 roku nastąpiła kolejna zmiana w programie lekowym polegająca na umożliwieniu zastosowania octanu glatirameru w I linii terapii (nie tylko u pacjentów z przeciwwskazaniami do interferonu beta). W roku tym nastąpiło też realne wydłużenie czasu leczenia pacjentów w programie (ze względu na dynamikę wprowadzania zmian w programie lekowym/terapeutycznym dopiero w tym roku leczenie mogło być po raz pierwszy przeprowadzone pacjentów powyżej 48. miesiąca terapii).

Raportowane przez NFZ w roku 2011 i 2012 roku oraz prognozowane na rok 2013 zużycie terapii immunomodulujących i wartość refundacji przedstawione zostało w poniższej tabeli (Tabela 2).

Tabela 2.
Wartość i zużycie świadczeń – terapie immunomodulujące finansowane przez NFZ – stan aktualny

	2011	2012	2013 ^b
Wartość świadczeń [mln zł]	127,0	142,8	█████
Roczne terapie	█████	█████	█████

a) na podstawie wartości i ilości rozliczonych świadczeń; b) prognoza

1.4. Technologia oceniana

Interferon beta-1a (L03AB07) [1]

Postać farmaceutyczna

Proszek do przygotowania roztworu do wstrzyknięć domięśniowych (30 µg substancji czynnej co jest równe 6 milionów j.m.) lub gotowy roztwór do wstrzyknięć domięśniowych 30 µg / 0,5 ml (6 milionów j.m. / 0,5 ml). [1]

Dawkowanie i schemat leczenia

Rzutowo-remisyjna postać stwardnienia rozsianego (RRSM) u pacjentów powyżej 12. i poniżej 65. roku życia: 30 µg interferonu raz w tygodniu, w iniekcjach domięśniowych; zwiększenie dawki nie daje dodatkowych korzyści klinicznych.

U osób powyżej 65 roku życia w oparciu o aktualne wyniki badań klinicznych nie stwierdzono podstaw do modyfikacji wielkości dawki i schematu leczenia.

Ze względu na brak badań dla dzieci poniżej 12 roku życia, nie należy stosować leku w tej populacji.

Miejsce wstrzyknięcia domięśniowego należy zmieniać co tydzień. Aktualnie brak jest danych o optymalnym czasie stosowania leczenia w związku z tym zaleca się podjęcie decyzji o kontynuacji/zaprzestaniu leczenia w oparciu o badanie kliniczne po dwóch latach stosowania leczenia.

Przez 1 dobę przed i po podaniu interferonu, w celu zmniejszenia objawów grypopodobnych, zaleca się stosowanie leków przeciwgorączkowych i przeciwbólowych. [1]

Wskazania do stosowania

- Rzutowo-remisyjna postać SM tj. dwa lub więcej rzutów choroby w okresie ostatnich trzech lat bez oznak postępu choroby między nawrotami.
- Wystąpienie pojedynczego ogniska demielinizacji z czynnym procesem zapalnym, którego ciężkość kwalifikuje pacjenta do leczenia podawanymi dożylnie kortykosteroidami; jednocześnie zostały wykluczone alternatywne rozpoznania i istnieje duże ryzyko rozwoju klinicznie jawnego stwardnienia rozsianego. [1]

Działania niepożądane

Do najczęściej obserwowanych działań niepożądanych zalicza się: objawy grypopodobne, bezpośrednio po podaniu, przejściowe objawy sugerujące nasilenie choroby podstawowej, przejściowe wzmożenie napięcia mięśniowego i/lub ciężkie osłabienie mięśniowe uniemożliwiające

wykonywanie ruchów dowolnych, objawy ze strony przewodu pokarmowego (nudności, wymioty, biegunka, utrata apetytu). [1]

1.5. Interwencje alternatywne

W warunkach polskich alternatywą dla zastosowania interferonu beta-1a i.m. są wszystkie pozostałe preparaty stosowane obecnie w ramach programu lekowego dla stwardnienia rozsianego:

- interferon beta-1a s.c. (preparat Rebif),
- interferon beta-1b s.c. (preparaty Betaferon i Extavia),
- octan glatirameru (preparat Copaxone).

1.6. Kwalifikacja do grupy limitowej

Interferon beta-1a i.m. (preparat Avonex) jest obecnie finansowany ze środków publicznych w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”. Refundowany jest jedno opakowanie tego leku (EAN 5909990008148) o zawartości 4 ampułko-strzykawek zawierających po 30 mcg substancji czynnej. Lek ten jest finansowany w ramach odrębnej grupy limitowej –1024.41, Interferonum beta 1a a 30 mcg. W grupie ten znajduje się wyłącznie jeden produkt, a limit finansowania wyznaczony jest przez cenę hurtową tego leku.

W ramach niniejszej analizy rozważa się wyłącznie zmianę zakresu refundacji interferonu beta-1a i.m., tj. zniesienie administracyjnego ograniczenia długości terapii w programie lekowym. W ramach analizy rozważa się utrzymanie obecnych zasad finansowania leku. Wnioskowana zmiana w programie lekowym nie ma wpływu na kwalifikację leku do grupy limitowej.

2. METODYKA I DANE ŹRÓDŁOWE

2.1. Sposób przeprowadzenia analizy

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w następujący sposób:

1. Zdefiniowano **populację docelową** zgodnie z projektem programu lekowego. Oszacowano liczebność populacji docelowej i przeprowadzono prognozę na kolejne lata horyzontu czasowego analizy.
2. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w latach 2014–2016 w przypadku utrzymania **scenariusza istniejącego**, czyli w przypadku utrzymania administracyjnego ograniczenia długości terapii.
3. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w latach 2014–2016 w **scenariuszu nowym**, czyli w przypadku zniesienia administracyjnego ograniczenia długości terapii.
4. Wyznaczono **wydatki inkrementalne**, czyli różnicę w wydatkach pomiędzy scenariuszem nowym a scenariuszem istniejącym. Jeżeli wydatki inkrementalne przyjmują wartości ujemne, oznaczają oszczędności dla płatnika, w przeciwnym razie oznaczają dodatkowe koszty.
5. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla zmiennych, które w największym stopniu wpływają na wyniki analizy wpływu na budżet oraz takich, których oszacowanie charakteryzuje się największą niepewnością.

2.2. Forma analizy

Analiza wpływu na budżet składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel 2007, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń. Arkusz kalkulacyjny umożliwia również przeprowadzenie jednokierunkowych i wielokierunkowych analiz wrażliwości.

2.3. Perspektywa analizy

Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych – Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).

Leki uwzględnione w analizie (interferony beta, octan glatirameru) finansowane są w ramach programu lekowego i, zgodnie z zasadami refundacji, pacjenci nie partycypują w kosztach terapii.

2.4. Horyzont czasowy analizy

Analizę przeprowadzono w 3-letnim horyzoncie czasowym, przy założeniu, że administracyjne ograniczenie długości terapii zostanie zniesione z dniem 1 stycznia 2014 roku.

Horyzont ten obejmuje zgodny z ustawą refundacyjną [5] okres obowiązywania drugiej decyzji refundacyjnej, tj. 2 lata. Analizę opracowano przy założeniu, że zasady i poziom finansowania interferonów beta i octanu glatirameru pozostaną niezmiennione w okresie, którego dotyczy prognoza.

Zgodnie z wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM), horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi lub co najmniej w ciągu 2 lat od wprowadzenia nowej technologii [6]. Rozważana w analizie strategia refundacyjna stanowi rozszerzenie strategii realizowanej obecnie i nie wiąże się z finansowaniem dodatkowych technologii. Ze względu na wieloletnią realizację programu dla pacjentów ze stwardnieniem rozsianym można ocenić, że stan równowagi w analizowanym sektorze jest już ustalony. Zniesienie ograniczenia czasu trwania terapii nie powinno wpłynąć na zmianę tej równowagi, pacjenci bowiem najprawdopodobniej będą kontynuować aktualnie prowadzone leczenie. Dynamika zużycia leków wiązać się będzie zatem wyłącznie z przedłużeniem czasu pozostawiania pacjentów w programie. Okres 3 lat wydaje się być wystarczający dla oceny skali wzrostu wydatków płatnika publicznego wynikającego ze zmian w programie. Należy mieć jednak na uwadze, że stan ustabilizowania się liczby pacjentów w programie osiągnięty może być dopiero w znacznie dłuższym horyzoncie czasowym (kilkanaście lat), tj. w okresie, w którym liczba nowych pacjentów kwalifikowanych do programu i pochodna zapadalności zrównoważy się z liczbą pacjentów przerywających leczenie w kolejnych latach terapii.

Argumentem dla ograniczenia prognozy do 3-letniego horyzontu, jest szczególna i niezależna od błędów prognoz niepewność wyników określanych w dłuższym horyzoncie. Ograniczona wiarygodność obliczeń dla odległego horyzontu czasowego jest nieusuwalnym elementem każdej prognozy wydatków przeznaczonych na refundację, jednak w przypadku analizowanego problemu zdrowotnego zwiększać ją mogą dodatkowe i specyficzne dla rozważanego zagadnienia czynniki. Znaczna dynamika kształtu programów leczenia stwardnienia rozsianego w ubiegłych latach (stopniowe wydłużanie dostępu do terapii i rozszerzanie kryteriów kwalifikacji) jest głównym czynnikiem, który wpływa na zużycie terapii immunomodulujących w Polsce. W przypadku kontynuacji w najbliższych latach realizowanej dotychczas linii zmian, prognozy dla horyzontu dłuższego niż 3 lata nie byłyby wiarygodne.

2.5. Populacja zgodna ze wskazaniem rejestracyjnym

Populacja w której zgodnie ze wskazaniem rejestracyjnym może być zastosowany interferon beta-1a obejmuje dorosłych chorych z rzutowo-remisyjną postacią stwardnienia rozsianego.

Zgodnie z oszacowaniami ekspertów, liczba osób jakie mogłyby stosować leczenie immunomodulujące wynosi w Polsce 15–17 tysięcy chorych [7]. Liczba ta jest blisko czterokrotnie wyższa niż liczba pacjentów leczonych w ramach programu w ciągu roku kalendarzowego: 3 745 osób w 2009 roku, 4 386 osób w 2010, 4 765 osób w 2011 oraz 4 676 osób w 2012 roku [4, 8, 9] – Tabela 3.

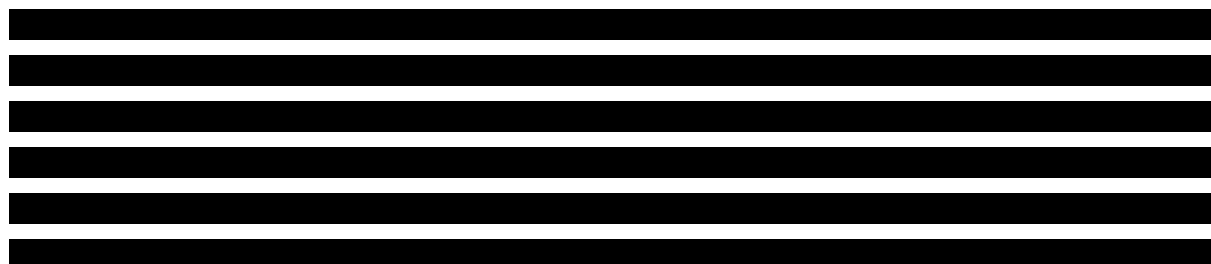
Tabela 3.
Liczba pacjentów biorących udział w programie lekowym dla stwardnienia rozsianego w latach 2009–2012

	2009	2010	2011	2012
Liczba pacjentów biorących udział w programie lekowym	3 745	4 386	4 765	4 676
W tym: interferon beta-1a (30 µg)			bd	bd

W przypadku rozważanej interwencji, tj. zmiany w istniejącym programie lekowym polegającej na wydłużeniu czasu leczenia pacjentów zakwalifikowanych do leczenia w programie, oszacowania populacji docelowej, rozumianej jako pacjenci, którzy mogliby stosować leczenie immunomodulujące, ma relatywnie niewielkie znaczenie. W ciągu najbliższych lat żaden pacjent, który nie został uprzednio zakwalifikowany do programu lekowego w obowiązującym obecnie kształcie nie będzie również mógł korzystać z przedłużonej terapii lekami immunomodulującymi. Ponadto – również w sytuacji, gdyby odsetek pacjentów ze stwardnieniem rozsianym, u których rozpoczynane będzie leczenie w programie lekowym wzrósł w kolejnych latach (np. przez ograniczenie czasu oczekiwania na kwalifikację lub zmianę kryteriów kwalifikacji do programu) – dodatkowi pacjenci objęci terapią będą mogli korzystać z leczenia przedłużonego, którego dotyczy analiza, dopiero w latach następnych (powyżej przyjętego horyzontu analizy). W żadnej sytuacji kwestia rozpowszechnienia leczenia immunomodulującego wśród pacjentów z SM nie ma więc wpływu na koszty różniące porównywanych scenariuszy (istniejącego – z ograniczeniem czasu leczenia do 5 lat i nowego, bez ograniczenia dla długości terapii).

2.6. Populacja docelowa

Populację docelową dla rozważanej strategii refundacyjnej stanowią pacjenci spełniający kryteria kwalifikacji do programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”, zgodnie z obowiązującym kształtem tego programu [2].



Liczbę pacjento-lat w scenariuszu istniejącym (I linia terapii w programie lekowym), przy utrzymaniu ograniczenia maksymalnego czasu terapii do 5 lat, oszacowano na podstawie historycznych danych NFZ na [REDACTED] (Tabela 4). W roku 2011 liczba pacjentów objętych (w dowolnym zakresie) leczeniem immunomodulującym była o ok. [REDACTED] wyższa niż liczba pełnych rocznych kursów terapii, natomiast w roku 2012 liczba ta była o [REDACTED] większa niż liczba pełnych terapii (por. rozdział 1.3). Pacjento-lata interpretować można natomiast jako średnią liczbę pacjentów leczonych aktywnie w programie w dowolnym momencie roku kalendarzowego.

Liczbę rocznych terapii w scenariuszu nowym (I linia terapii w programie lekowym), przy zniesieniu ograniczenia maksymalnego czasu leczenia w programie, oszacowano na [REDACTED] (Tabela 4). Wzrost liczby terapii względem scenariusza istniejącego wynosi [REDACTED]

Tabela 4.
Populacja docelowa – liczba rocznych kursów terapii w I linii leczenia stwardnienia rozsianego w programie lekowym

	2014	2015	2016
Scenariusz istniejący	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Scenariusz nowy	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

W analizie przyjęto, że w populacji docelowej – zarówno w scenariuszu istniejącym jak i nowym – [REDACTED] pacjentów leczonych interferonami beta stosować będzie interferon beta-1a i.m. (na podstawie rozpowszechnienia leku w roku 2013) – Tabela 5. Przyjęty stały odsetek jest poparty analizą trendu, która wykazała brak tendencji wzrostowej lub spadkowej w okresie od kwietnia 2011 do sierpnia 2013.

Tabela 5.
Populacja docelowa – liczba rocznych kursów terapii interferonem beta-1a i.m. w programie lekowym

	2014	2015	2016
Scenariusz istniejący	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Scenariusz nowy	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Szczegóły dotyczące obliczeń liczby rocznych terapii przedstawiono w kolejnym rozdziale (rozdział 2.7).

2.7. Zużycie leków

Dane historyczne

Zużycie substancji w programach dedykowanych terapii stwardnienia rozsianego oszacowano na podstawie komunikatów Departamentu Gospodarki Lekami NFZ za okres od stycznia 2011 do sierpnia 2013 [10] oraz sprawozdań NFZ za lata 2008–2011 [11–14]. W latach 2008–2010 dane nie były raportowane tak szczegółowo jak od 2011 roku, dostępne informacje dot. kosztów refundacji substancji stosowanych w programach obejmują m.in. całkowitą roczną kwotę refundacji interferonu beta-1a (za lata 2008, 2009 i 2010) oraz całkowitą roczną kwotę refundacji interferonu beta-1b (za lata 2008 i 2009). Wartość refundacji raportowaną przez NFZ i skojarzoną z nią liczbę świadczeń (jednostek wydanej substancji czynnej) przedstawiono w tabelach poniżej (Tabela 6, Tabela 7).

Tabela 6.
Koszty refundacji substancji czynnych stosowanych w programach leczenia SM w latach 2008–2011

Substancja	Refundacja w tys. zł			
	2008	2009	2010	2011
Interferon beta 1a	21 765	34 544	-	41 929
Dawka a 22 µg				144
Dawka a 44 µg				19 423
Dawka a 30 µg				22 361
Interferon beta 1b	41 233	58 058	66 712	74 913
Octan glatirameru	-	-	-	10 110

Tabela 7.
Zużycie substancji czynnych stosowanych w programach leczenia SM w roku 2011

Substancja	Zużycie w jednostkach naturalnych w 2011
Interferon beta 1a	
Dawka a 22 µg	25 mg
Dawka a 44 µg	3 419 mg
Dawka a 30 µg	894 mg
Interferon beta 1b	108 079 mg
Octan glatirameru	1 983 895 mg

W celu oszacowania zużycia leków w latach 2011–2013 wykorzystane zostały informacje publikowane przez NFZ w comiesięcznych komunikach Departamentu Gospodarki Lekami. Na podstawie zawartości opakowań leków immunomodulujących refundowanych zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z 23 grudnia 2013 roku [2] oraz dawkowania i sposobu podawania tych leków opisanych w charakterystykach produktów leczniczych [15–19] obliczono liczbę dni terapii przypadających na jedno opakowanie danego leku (DOT – *day of treatment*, Tabela 8).

Tabela 8.
Oszacowanie liczby dni terapii (DOT) przypadającej na jedno opakowanie

Lek	Zawartość opakowania	Dawkowanie	DOT / opakowanie
Octan glatirameru (Copaxone)	28 amp.-strz. (4 blist. a 7 amp.-strz. a 1 ml)	1x / doba	28
Interferon beta 1a i.m. (Avonex)	4 amp.-strz. (+ 4 igły)	1x / tydzień	28
Interferon beta 1a s.c. (Rebif)	12 amp.-strz. a 0,5 ml	3x / tydzień	28
Interferon beta 1b s.c. (Betaferon)	15 zest.	1x / 2dni	30
Interferon beta 1b s.c. (Extavia)	15 fiol. (+15 a.-strz. rozp. a 1,2 ml)	1x / 2dni	30

W oparciu o informacje o dawkowaniu oraz o dane o zużyciu świadczeń refundowanych w poszczególnych okresach (styczeń 2011–sierpień 2013) oszacowana została liczba pełnych kursów terapii (pacjento-lat) realizowanych w poszczególnych latach.

Oszacowane w ten sposób zużycie terapii immunomodulujących w latach 2011–2013 przedstawiono w kolejnej tabeli (Tabela 9).

W analizie uwzględniono także octan glatirameru, jako że jest on refundowany w ramach tego samego programu lekowego co interferony beta. W 2013 zmieniono zakres refundacji tego leku umożliwiając stosowanie go w I linii terapii.

Tabela 9.
Zużycie interferonu beta w programie leczenia stwardnienia rozsianego w latach 2011–2013

Lek	2011	2012	2013 ^a
Interferon beta – liczba pełnych rocznych kursów terapii			

a) Dane rzeczywiste za okres od stycznia do sierpnia i prognoza na okres od września do grudnia

Prognoza

Standardy leczenia stwardnienia rozsianego w ramach terapii refundowanej przez płatnika publicznego zmieniały się wielokrotnie w okresie, dla którego dostępne są dane o zużyciu poszczególnych preparatów. Najważniejsze zmiany obejmowały przedłużenie możliwego czasu leczenia w programie bez konieczności kolejnej kwalifikacji z 2 do 3 lat w roku 2009 i z 3 do 5 lat w roku 2012 [20], a także wycofanie z programu octanu glatirameru (w roku 2008) i ponowne włączenie go do refundacji z ograniczeniem jego stosowania jako terapii drugiej linii lub u osób z przeciwwskazaniami do interferonu beta (w roku 2009) [21, 22].

W przypadku refundacji interferonów kluczowe znaczenie mają przede wszystkim zmiany dotyczące wydłużenia czasu leczenia w programie lekowym. Reguły ponownej kwalifikacji pacjentów do leczenia w ramach programu są dosyć ogólne [23–25], ponadto powtórna kwalifikacja pacjentów była ograniczana kryteriami włączenia, w których pacjenci z dłuższym czasem choroby i bardziej zaawansowanym wiekiem (kryterium zlikwidowane w roku 2012 [20]) mieli mniej punktów, niż pacjenci, którzy po raz pierwszy starają się o kwalifikację do terapii. Czynniki te sprawiają, że liczba pacjentów obejmowanych leczeniem jest ściśle zależna od czasu trwania podstawowej terapii, jaki określony został przez płatnika publicznego.

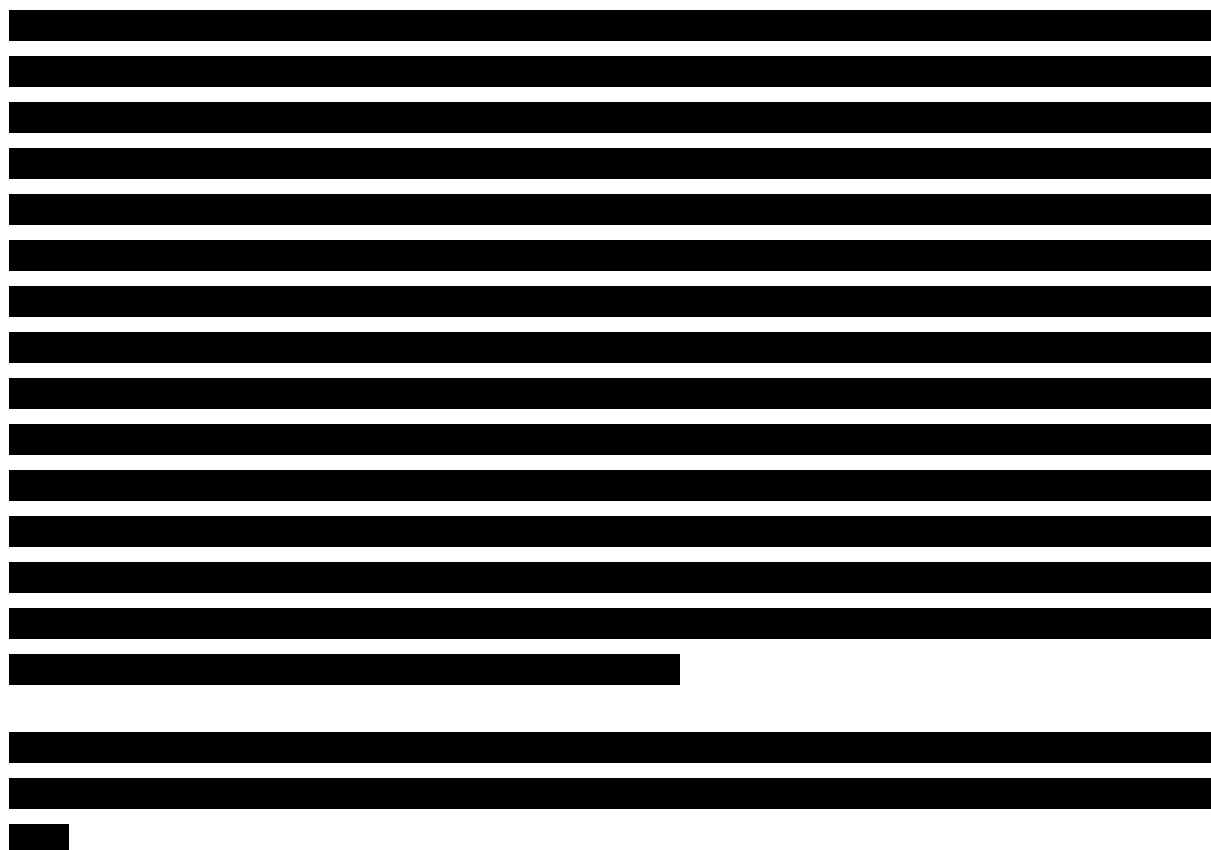
[Redacted text block]

Tabela 10.
Zużycie leków w scenariuszu istniejącym przy utrzymaniu maksymalnego czasu terapii (5 lat)

	2014	2015	2016
Scenariusz istniejący – liczba rocznych terapii interferonem beta	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
Scenariusz istniejący – liczba rocznych terapii octanem glatirameru	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
Scenariusz istniejący – liczba rocznych terapii	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

W prognozie zużycia interferonów w przypadku wydłużenia czasu leczenia w programie wykorzystano dane [Redacted]

[Redacted text block]



Oszacowanie liczby rocznych terapii w przypadku zniesienia ograniczenia czasu terapii przedstawiono w poniższej tabeli (Tabela 11).

Tabela 11.
Zużycie leków w scenariuszu nowym przy zniesieniu ograniczenia maksymalnego czasu terapii

	2014	2015	2016
Scenariusz istniejący – liczba rocznych terapii interferonem beta	■	■	■
Scenariusz istniejący – liczba rocznych terapii octanem glatirameru	■	■	■
Scenariusz nowy – liczba rocznych terapii	■	■	■

2.8. Koszty

W analizie uwzględniono wyłącznie bezpośrednie koszty medyczne. Ograniczono się do kosztów związanych z prowadzeniem i realizacją rozważanego programu lekowego:

- kosztów leków,
- kosztów diagnostyki i podania leków.

Koszty leków

Cenę interferonu beta-1a i.m. (Avonex) uzyskano od Zamawiającego (Tabela 12). Jedno opakowanie produktu Avonex (EAN: 5909990008148) zawiera 4 ampułko-strzykawkę z 1 ml roztworu do wstrzyknięcia domięśniowego. W każdym ml znajduje się 30 µg substancji czynnej (interferonu beta-1a). Jedno opakowanie (4 dawki) wystarcza na czterotygodniową terapię. Proponowana cena zbytu netto za opakowanie wynosi [REDACTED] cena hurtowa brutto przy uwzględnieniu marży hurtowej w wysokości 5% wyniesie [REDACTED]

Tabela 12.
Cena interferonu beta-1a i.m.

Nazwa handlowa	Substancja czynna	Dawka	Opakowanie	[REDACTED]		[REDACTED]	
				[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Avonex	Interferon beta	30 µg	4 amp.-strz. (+ 4 igły)	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

a) VAT = 8%

Ceny jednostkowe pozostałych aktualnie refundowanych substancji ustalone na podstawie rozporządzenia obwieszczenia Ministra Zdrowia z 23 grudnia 2013 roku [2], obowiązujące w styczniu-lutym 2014, przedstawiono w kolejnej tabeli (Tabela 13).

Przyjęte w analizie ceny są zgodne z cenami wprowadzonymi w obwieszczeniu Ministra Zdrowia obowiązującym od 1 marca 2014 r. [26]

Tabela 13.
Ceny aktualnie refundowanych preparatów zawierających interferon beta lub octan glatirameru (styczeń 2014)

Nazwa handlowa	Substancja czynna	Dawka	Opakowanie	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto ^a
Rebif	Interferonum beta-1a s.c.	44 µg	12 amp.-strz. a 0,5 ml	4 086,72 zł	4 291,06 zł
Betaferon	Interferonum beta-1b s.c.	250 µg	15 zest.	3 057,48 zł	3 210,35 zł
Extavia	Interferonum beta – 1b s.c.	250 µg	15 fiol. (+15 a.-strz. rozp. a 1,2 ml)	2 862,00 zł	3 005,10 zł
Copaxone	Glatirameri acetat	20 mg	28 amp.-strz. (4 blist. a 7 amp.-strz. a 1 ml)	3 780,00 zł	3 969,00 zł

a) VAT = 8%; marża hurtowa = 5%

Diagnostyka i koszty podania leku

Zgodnie z Zarządzeniem Prezesa NFZ z 10 maja 2012 z późniejszymi zmianami [27] diagnostyka pacjentów leczonych w ramach programu leczenia stwardnienia rozsianego rozliczana jest na podstawie rocznej opłaty ryczałtowej (Tabela 14).

Tabela 14.
Diagnostyka w programie leczenia stwardnienia rozsianego

Świadczenia	Wycena punktowa	Cena punktu rozliczeniowego	Roczny ryczałt za diagnostykę
Diagnostyka w programie leczenia stwardnienia rozsianego	24	52	1 248 zł

W analizie przyjęto, że ryczałt ten jest rozliczany proporcjonalnie do czasu leczenia pacjenta w programie.

W obliczeniach uwzględniono ponadto koszty związane z podawaniem leku (Tabela 15). Przyjęto, że wszystkie aktualnie dostępne preparaty wydawane lub podawane są pacjentom w ramach porady ambulatoryjnej i że w ramach jednej porady pacjent otrzymuje jedno opakowanie leku.

Tabela 15.
Koszt podania leków w programie leczenia stwardnienia rozsianego

Kod	Nazwa	Wycena punktowa	Cena punktu rozliczeniowego	Koszt jednorazowy
5.08.07.0000004	Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu	2	52	104 zł

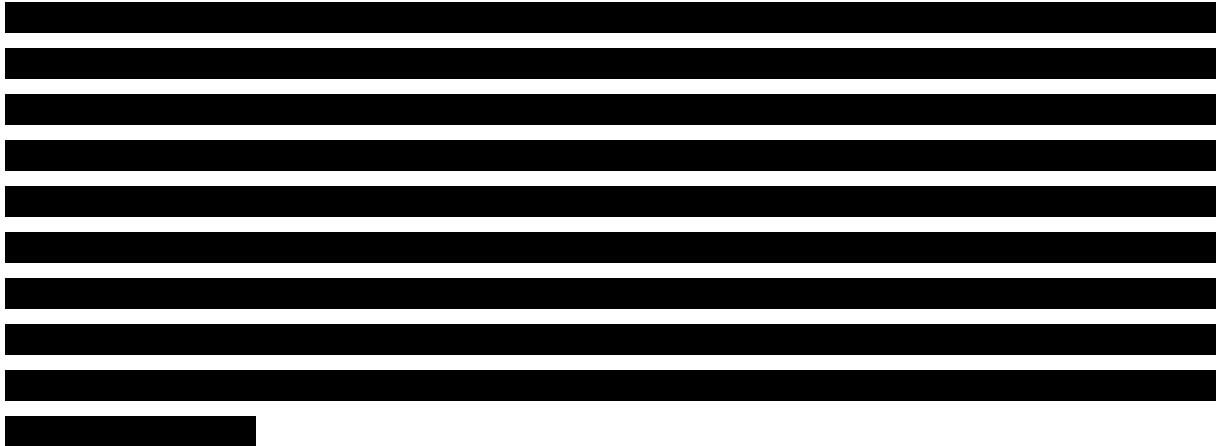
[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

2.10. Analiza wrażliwości

W analizie wrażliwości przedstawiono w jakim zakresie mogą się zmieniać inkrementalne wydatki płatnika, jeśli zmianie podlegać będą następujące parametry (przy pozostałych parametrach ustalonych na poziomie wartości z podstawowej analizy):

- Prognoza wzrostu zużycia leków immunomodulujących w scenariuszu istniejącym +/- 10%;
- Prognoza wzrostu zużycia leków immunomodulujących w scenariuszu nowym +/- 10%.



3. WYNIKI

W rozdziale przedstawione zostały wyniki analizy wpływu na budżet płatnika w scenariuszu istniejącym i nowym, wyznaczone przy podstawowych założeniach analizy. Wszystkie szczegółowe wyniki dostępne są w skrószycie obliczeniowym.

3.1. Scenariusz istniejący

3.1.1. Populacja i zużycie leków

Zużycie preparatów immunomodulujących w terapii stwardnienia rozsianego realizowanej w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”, przy zachowaniu administracyjnego ograniczenia długości leczenia do maksymalnie 5 lat, oszacowano na [REDACTED] rocznych terapii w 2014 roku do ok [REDACTED] rocznych terapii w 2016 roku. W tych wartościach [REDACTED] rocznych terapii to leczenie z zastosowaniem interferonu beta-1a i.m. (Tabela 16).

W scenariuszu istniejącym liczba pełnych rocznych terapii realizowanych z zastosowaniem interferonu beta-1a i.m. oszacowana została na od [REDACTED] terapii w kolejnych latach prognozy a w scenariuszu nowym na [REDACTED] w kolejnych latach prognozy.

Tabela 16.
Prognozowana liczba terapii I linii leczenia SM – scenariusz istniejący

Lek	2014	2015	2016
Interferon beta-1a	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
W tym: interferon beta-1a i.m.	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Interferon beta 1b	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Octan glatirameru	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Razem	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

3.2. Scenariusz nowy

3.2.1. Populacja i zużycie leków

Zużycie preparatów immunomodulujących w terapii stwardnienia rozsianego realizowanej w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”, przy zniesieniu ograniczenia długości leczenia, oszacowano na od [redacted] rocznych terapii w 2014 roku do [redacted] rocznych terapii w 2016 roku. W tych wartościach [redacted] rocznych terapii to leczenie z zastosowaniem interferonu beta-1a i.m. (Tabela 19).

Tabela 19.
Prognozowana liczba terapii I linii leczenia SM – scenariusz nowy

Lek			
Interferon beta 1a	[redacted]	[redacted]	[redacted]
W tym: interferon beta-1a i.m.	[redacted]	[redacted]	[redacted]
Interferon beta 1b	[redacted]	[redacted]	[redacted]
Octan glatirameru	[redacted]	[redacted]	[redacted]
Razem	[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]
[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]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

4. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI

Dane uwzględnione w analizie wpływu na budżet mogą podlegać zmianom w zależności od różnych czynników i okoliczności, których nie sposób na obecnym etapie przewidzieć. Dynamicznie zmienia się system refundacji substancji stosowanych w programach terapeutycznych/lekowych a poziom wydatków NFZ regulowany jest zarówno dostępnymi publicznie aktami prawnymi, jak i niepublikowanymi umowami podziału ryzyka pomiędzy NFZ i producentami leków. Skala wydatków ze środków publicznych zależy również od dostępności świadczeń gwarantowanych – zarówno w scenariuszu zachowania aktualnego zakresu refundacji, jak i w scenariuszu z brakiem systemowych ograniczeń czasu trwania leczenia w programie lekowym. Podjęta w opracowaniu próba oceny zakresu niepewności uzyskiwanych wyników służy uzupełnieniu głównych rezultatów analizy o zakres zmienności wynikający z możliwych realizacji poszczególnych parametrów.

W analizie wrażliwości przedstawiono, w jakim zakresie mogą się zmieniać inkrementalne wydatki płatnika, jeśli zmianie podlegają będą następujące parametry (przy pozostałych parametrach ustalonych na poziomie wartości z podstawowej analizy):

- Prognoza wzrostu zużycia leków immunomodulujących w scenariuszu istniejącym +/- 10% – wariant A analizy wrażliwości
- Prognoza wzrostu zużycia leków immunomodulujących w scenariuszu nowym +/- 10% - wariant B analizy wrażliwości

Zestawienie parametrów podlegających zmianom w jednokierunkowej analizie wrażliwości przedstawione zostało w tabeli poniżej (Tabela 24). Wyniki inkrementalne dla poszczególnych wariantów obliczeń (wydatki inkrementalne na substancje czynne, diagnostykę i podanie leku oraz pozostałe koszty terapii) przedstawiono w kolejnej tabeli (Tabela 25).

Tabela 24.
Opis wariantów analizy wrażliwości

Parametr	Wariant	Opis wariantu analizy wrażliwości		
Wzrost zużycia leków immunomodulujących w scenariuszu istniejącym	Rok	■	■	■
	Wariant A0	■	■	■
	Wariant A1	■	■	■
	Wariant A2	■	■	■
Wzrost zużycia leków immunomodulujących w scenariuszu nowym	Rok	■	■	■
	Wariant B0	■	■	■
	Wariant B1	■	■	■
	Wariant B2	■	■	■

5. ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

5.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Zniesienie ograniczenia czasu trwania terapii w programie „Leczenia stwardnienia rozsianego” polegać będzie na modyfikacji istniejącego programu lekowego. Wydłużenie czasu leczenia w programie, przy zapewnieniu środków finansowych na odpowiednim poziomie, zwiększy liczbę pacjentów biorących udział w programie. Przyczyni się to do zwiększenia zapotrzebowania na pozostałe świadczenia realizowane w ramach programu – m.in. badania kontrolne związane z oceną skuteczności leczenia. W ujęciu wartościowym wzrost ten został oszacowany w ramach niniejszej analizy.

Na podstawie danych o efektywności leku można oczekiwać, że przedłużenie terapii u pacjentów odpowiadających na leczenie ponad 60 miesięcy zmniejszy częstość rzutów i pozwoli na redukcję progresji choroby i niepełnosprawności u pacjentów, którzy otrzymają tę terapię. Czynniki te powinny mieć korzystny wpływ na liczbę świadczeń realizowanych w związku z terapią stwardnienia rozsianego w kolejnych latach.

5.2. Aspekty etyczne i społeczne

W tabeli poniżej przedstawiona została ocena poszczególnych aspektów z zakresu etycznych i społecznych konsekwencji zniesienia ograniczenia czasu terapii w programie w analizowanym wskazaniu.

Tabela 26.

Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji polegającej zniesieniu ograniczenia czasu trwania terapii w programie lekowym leczenia stwardnienia rozsianego

Aspekt	Ocena
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle wyników analizy kosztów efektywności	
Czy koszty efektywności różnią się w poszczególnych podgrupach?	Nie zidentyfikowano podgrup w analizie efektywności klinicznej.
Grupy pacjentów, które mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej	Nie zidentyfikowano.
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów społecznych	
Zapewnienie równości dostępu pacjentów o zbliżonych potrzebach do badanej technologii	Dostęp do programu lekowego może być zagrożony wyłącznie w przypadku niedostatecznego zakontraktowania świadczeń w programie. Już w chwili obecnej na realizację świadczeń w ramach programu oczekuje liczba chorych odpowiadająca 20% populacji leczonej.
Zaspakajanie niezaspokojonych dotychczas potrzeb grup społecznie upośledzonych	Usunięcia ograniczenia czasu leczenia w programie będzie stanowić ważny krok w celu zaspokojenia potrzeb pacjentów, dla których terapia z zastosowaniem

Aspekt	Ocena
Odpowiedź na potrzeby osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia	interferonu beta i octanu glatirameru przynosi korzyści. Przedłużenie czasu aktywnego leczenia pozwoli im na realizację w szerszym zakresie funkcji społecznych i wpłynie korzystnie na koszty z perspektywy społecznej. Funkcjonujące sztuczne ograniczenie dostępu do leczenia ma na celu wyłącznie ograniczenie wydatków płatnika publicznego i nie jest w żadnym zakresie podparte wiedzą medyczną.
Zgodność z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi	Finansowanie technologii jest zgodne z obowiązującym prawem, wymagać będzie modyfikacji istniejącego programu lekowego.
Wpływ na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Korzystny wpływ na prawa pacjenta. Zgodnie z Ustawą o prawach pacjenta i Rzeczniku Prawa Pacjenta pacjent ma prawo do świadczeń zdrowotnych odpowiadających wymaganiom aktualnej wiedzy medycznej. Ograniczenie czasu leczenia do 5 lat jest administracyjnym przepisem nie mającym żadnego odzwierciedlenia w wytycznych leczenia i zaleceniach w tym zakresie. Należy wręcz ocenić, że ograniczanie czasu terapii w ten sposób łamie podstawowe prawa pacjenta.
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów etycznych	
Wpływ na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej	Wprowadzenie tej metody terapeutycznej z dużym prawdopodobieństwem zwiększy satysfakcję pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej. Celem programu lekowego jest poprawa sprawności ruchowej, powstrzymanie postępu choroby i zapobieganie wystąpieniu lub pogłębieniu się inwalidztwa uniemożliwiającego czynne życie i pracę zawodową.
Ryzyko niezaakceptowania terapii przez poszczególnych chorych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Możliwość stygmatyzacji chorych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Możliwość wywoływania lęku	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Możliwość powodowania dylematów moralnych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Możliwość stwarzania problemów dotyczących płci lub rodzinnych.	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Konieczność szczególnego informowania lub uzyskiwania zgody pacjenta na podanie leku	Zbliżona do obecnie stosowanych metod.
Potrzeba zapewnienia pacjentowi niekrepujących warunków lub poufności przy podaniu leku	Identyczna jak dla obecnie stosowanych metod.
Potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze terapii	Identyczna jak dla obecnie stosowanych metod.
Potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji pacjenta przy wyborze terapii	Identyczna jak dla obecnie stosowanych metod.

ponadto koszty społeczne choroby. Ze względów etycznych i społecznych należy rozważyć zniesienie sztucznie ustanowionych ograniczeń w czasie trwania terapii.



7. OGRANICZENIA

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

- Każda analiza wpływu na budżet ma charakter prognozy, a zatem w sposób przybliżony określa wielkość przyszłych wydatków. Opracowywana jest przy założeniu określonej sytuacji prawnej i rynkowej, której zmiana (pojawienie się nowych schematów leczenia, zmiana zasad finansowania świadczeń medycznych, zmiana dostępności do świadczeń, wzrost liczby wyspecjalizowanych ośrodków itd.) może przyczynić się do zmiany przewidywanych wydatków płatnika. Im dłuższy horyzont czasowy analizy, tym trudniej z odpowiednią precyzją przewidzieć ewentualne zmiany, a tym samym tym większe jest ryzyko błędu systematycznego.

8. DYSKUSJA

Interferony beta są obecnie terapią finansowaną w ramach programu lekowego u chorych ze stwardnieniem rozsianym w postaci rzutowo-remisyjnej. Terapia w ramach programu lekowego u tych pacjentów jest ograniczona czasowo do 24 miesięcy, z możliwością przedłużenia do maksymalnie 60 miesięcy. Po tym czasie nawet ci pacjenci, u których leczenie powodowało poprawę stanu zdrowia, najczęściej muszą zaprzestać terapii lub podjąć próbę samodzielnego finansowania leczenia. Kwestia ponownej kwalifikacji do programu nie jest jednoznaczna i nawet w przypadku dopuszczenia takiej możliwości, szanse uzyskania takiej kwalifikacji, ze względu na przyjęty system oceny pacjenta, są niewielkie. Należy zwrócić uwagę na fakt, że wyniki przeprowadzonego przeglądu systematycznego wskazują, że dłuższe leczenie interferonem beta przynosi istotne statystycznie i klinicznie korzyści zdrowotne chorym z RRSM (redukcja liczby rzutów, opóźnienie postępu choroby mierzonego stopniem niepełnosprawności). Niniejsza analiza została przeprowadzona w celu oszacowania wpływu na budżet płatnika decyzji o zniesieniu limitu czasu leczenia w programie lekowym i umożliwienia pacjentom przedłużania czasu leczenia w programie tak długo, jak długo trwać będzie u nich odpowiedź na terapię.

W niniejszej analizie prognozę przyszłego zużycia interferonów beta oparto w głównej mierze na wynikach dotyczących zużycia leków w ubiegłych latach (koszty refundacji NFZ i dane o liczbie opakowań). Hipotetyczna skala potrzeb związanych z terapią stwardnienia rozsianego jest znacznie większa, niż wynika to z danych o obecnie realizowanych świadczeniach, pacjentach w programie lub pacjentach oczekujących na leczenie. Wskazanie do terapii interferonami beta lub octanem glatirameru obejmuje pacjentów z rzutowo-remisyjną postacią stwardnienia rozsianego, co oznacza, że dotyczy ono nawet kilkudziesięciu tysięcy osób w Polsce [28]. Zgodnie z opiniami ekspertów rzeczywiste zapotrzebowanie na terapię z zastosowaniem leków immunomodulujących dotyczy 15–17 tys. osób. Przyjęte kryteria refundacji oraz dostępne środki finansowe umożliwiają jednak obecnie terapię tylko ok. [REDACTED] tysiącom pacjentów każdego roku.

Z powodu znacznych rozbieżności pomiędzy liczebnością populacji, jaka mogłaby być leczona interferonami beta i octanem glatirameru, a liczbą pacjentów dla których leki są rzeczywiście dostępne, w prognozie przyszłego zużycia oparto się na danych o realizacji świadczeń w programie leczenia stwardnienia rozsianego w ubiegłych latach [REDACTED]

[REDACTED]

nieznanych jeszcze uwarunkowań systemowych, możliwe będzie prognozowanie przyszłych wydatków płatnika w kolejnych latach realizacji zmodyfikowanego programu.

W analizie zostały uwzględnione jedynie bezpośrednie koszty medyczne terapii immunomodulujących, tj. koszty leków, koszty diagnostyki oraz koszty podania leków. Społeczne koszty niepełnosprawności chorych nie zostały wzięte pod uwagę. Ponadto założono, że ceny urzędowe leków w latach 2014–2016 będą takie same jak w roku 2013. W rzeczywistości ceny te mogą się zmieniać w czasie, co może mieć wpływ na wielkość całkowitych kosztów terapii immunomodulujących. [REDACTED]

Wyniki analizy wskazują, że zniesienie ograniczenia czasu trwania terapii w rozważanym programie lekowym spowoduje [REDACTED]

[REDACTED] Analizując poszczególne źródła i poziomy niepewności wyników oraz szacując wpływ zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii w programie leczenia stwardnienia rozsianego na budżet płatnika nie można jednocześnie zapomnieć o głównym wniosku, jaki wynika z niniejszego opracowania. Zapewnienie chorym na stwardnienie rozsiane dostępu do terapii nieograniczonej czasowo jest bardzo ważnym krokiem w celu poprawy ich jakości życia. W przypadku choroby, która istotnie ogranicza aktywność osób stosunkowo młodych i wiąże się z bardzo wysokimi kosztami społecznymi, każde działanie rozszerzające możliwości terapeutyczne jest szczególnie cenne. Skuteczna terapia stwardnienia rozsianego opóźnia progresję choroby, minimalizuje ryzyko rzutów i umożliwia pacjentom zachowanie sprawności, względnie wysokiej jakości życia czy możliwości pracy zawodowej.

Za zniesieniem ograniczenia czasu trwania leczenia chorych na stwardnienie rozsiane opowiadają się fundacje wspierające chorych na SM, Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozsianego, a także sami chorzy na stwardnienie rozsiane. W sierpniu 2012 roku Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozsianego (PTSR) wysłało do Agencji Oceny Technologii Medycznych swoją opinię na temat ograniczenia czasu trwania terapii w programie leczenia SM [30]. Według PTSR leczenie lekami immunomodulacyjnymi powinno być kontynuowane tak długo, dopóki jest ono skuteczne. Istnieją sprawdzone sposoby oceny skuteczności leczenia wykorzystywane obecnie m.in. w celu przedłużenia terapii o kolejny rok. Fundacja na Rzecz Chorych na Stwardnienie Rozsiane i Choroby Nowotworowe – Pomóż Walczyć o Życie w październiku 2012 roku wystosowała list do Ministerstwa Zdrowia [31]. Zarówno PTSR, jak i fundacja Pomóż Walczyć o życie uznają ograniczenie terapii chorych w programie leczenia na stwardnienie rozsiane za niedopuszczalne. Wskazują, że chorzy na SM to najczęściej ludzie młodzi, a skuteczne leczenie pomaga im zachować lepszą jakość życia. Im dłuższa sprawność pacjenta, tym dłużej może on pracować i być samodzielny. Obie organizacje powołują się

również na konstytucyjne prawo pacjenta do ochrony zdrowia. W sierpniu 2012 PTSR stworzyło na stronie internetowej www.petycje.pl petycję przeciwko ograniczeniu czasu leczenia osób ze stwardnieniem rozsianym [32] skierowaną do Ministerstwa Zdrowia. Poparła ją m.in. Fundacja na rzecz Chorych na stwardnienie rozsiane „Dobro Powraca” [33]. W petycji przywołane zostały argumenty wyszczególnione w opinii PTSR wysłanej do AOTM [30]. Petycję poparło ok. 4 000 osób (stan w grudniu 2013).

Dnia 18.10.2013 roku Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych wydał opinię w sprawie zasadności przedłużenia okresu stosowania interferonu beta w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G.35)” powyżej przewidzianego treścią programu 60-miesięcznego okresu czasu z uwzględnieniem przedłużenia okresu stosowania octanu glatirameru [34]. Według Prezesa AOTM przedłużenie okresu stosowania substancji czynnych objętych programem leczenia jest uzasadnione i znajduje oparcie w odnalezionych dowodach naukowych, rekomendacjach klinicznych oraz opiniach ekspertów. W opinii tej przywołane są badania potwierdzające spowolnienie postępu choroby wśród osób długotrwale stosujących interferon beta-1a, interferon beta-1b lub octan glatirameru w porównaniu z krótszym okresem ich stosowania. Uzasadnienie opinii podaje również informację na temat bezpieczeństwa długoterminowego stosowania ocenianych substancji. Według odnalezionych badań, w trakcie długoterminowego stosowania badanych substancji nie wystąpiły żadne nowe i nieprzewidziane zdarzenia niepożądane niż te zaobserwowane w badaniach rejestracyjnych. Nie podano również ograniczeń czasowych w stosowaniu interferonu beta-1a, interferonu beta-1b czy też octanu glatirameru. Opinia powołuje się również na rekomendacje innych instytucji dotyczące stosowania interferonów beta lub octanu glatirameru. Żadna z tych rekomendacji nie definiowała maksymalnego czasu leczenia tymi substancjami. W każdej z rekomendacji podkreślano, że decyzję o czasie trwania leczenia i momencie jego przerwania powinien podejmować lekarz w porozumieniu z pacjentem. Czas trwania terapii powinien być uzależniony od jej skuteczności. Opinia Prezesa AOTM podaje również stanowiska eksperckie na temat długości terapii lekami immunomodulującymi. Wszyscy eksperci rekomendują przedłużenie leczenia interferonem beta oraz octanem glatirameru bez określania limitu czasu trwania programu. Według ekspertów leki te:

- hamują postęp objawów choroby,
- zmniejszają ryzyko zgonu,
- zwiększają przewidywany czas przeżycia,
- są terapią długoterminowo bezpieczną,
- zmniejszają aktywność rzutową oraz ryzyko postępu niepełnosprawności.

W opinii Prezesa AOTM powołano się również na informacje zawarte w Charakterystykach Produktu Leczniczego interferonu beta oraz octanu glatirameru. Nie zawierają one wskazania właściwego czasu prowadzenia terapii. Zawierają one wyłącznie informację o konieczności monitorowania pacjenta oraz dokonywania klinicznej oceny stanu zdrowia po 2 latach od rozpoczęcia leczenia. Decyzja o przedłużeniu długości trwania leczenia powinna być podjęta przez lekarza.

Mając te wszystkie argumenty na uwadze, konieczność zniesienia ograniczenia czasu trwania leczenia interferonem beta-1a, interferonem beta-1b oraz octanem glatirameru w programie leczenia stwardnienia rozsianego wydaje się budzić żadnych wątpliwości.

9. BIBLIOGRAFIA

1. [REDACTED]
2. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 23 grudnia 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 stycznia 2014 r. <http://www2.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=m111111&ms=&ml=pl&mi=&mx=0&mt=&my=&ma=033091> (9.1.2014).
3. Polman CH, Reingold SC, Edan G, i in. Diagnostic criteria for multiple sclerosis: 2005 revisions to the „McDonald Criteria”. *Annals of neurology*. 2005; 58(6):840–846.
4. Uchwała Nr 5/2012/II Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 22 marca 2012 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2011 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=7&artnr=4848> (24.5.2012).
5. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. <http://isap.sejm.gov.pl/Download?id=WDU20111220696&type=2>.
6. Agencja Oceny Technologii Medycznych. Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA). Warszawa, kwiecień 2009. http://www.aotm.gov.pl/assets/files/wytyczne_hta/2009/09.05.29_wytyczne_HTA_pl_MS.pdf (17.11.2009).
7. Chorzy na SM chcą poprawy dostępu do terapii - Kurier - Z kraju - Medycyna Praktyczna. <http://www.mp.pl/kurier/59953.html> (10.12.2013).
8. Analiza weryfikacyjna. Leczenie natalizumabem chorych ze stwardnieniem rozsianym. AOTM 2012. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=7&artnr=5357> (4.11.2013).
9. Uchwała Nr 4/2013/II Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 15 marca 2013 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2012 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=7&artnr=5357&szukana=sprawozdanie> (10.12.2013).
10. Komunikaty NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2> (10.12.2013).
11. Roczne sprawozdanie z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2008 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=11&artnr=3777> (23.5.2012).
12. Roczne sprawozdanie z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2009 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=11&artnr=4137> (23.5.2012).
13. Roczne sprawozdanie z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2010 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=11&artnr=4501> (23.5.2012).
14. Uchwała Nr 5/2012/II Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 22 marca 2012 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2011 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=7&artnr=4848&szukana=uchwa%B3a%2Brady> (19.6.2012).
15. Charakterystyka produktu leczniczego interferon beta-1a (Avonex). http://www.ema.europa.eu/docs/pl_PL/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/000102/WC500029425.pdf (21.3.2012).
16. Charakterystyka produktu leczniczego interferon beta-1b (Betaferon). http://www.ema.europa.eu/docs/pl_PL/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/000081/WC500053225.pdf (21.3.2012).
17. Charakterystyka produktu leczniczego interferon beta-1b (Extavia). http://www.ema.europa.eu/docs/pl_PL/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/000933/WC500034701.pdf (21.3.2012).
18. Charakterystyka produktu leczniczego Rebif (interferon beta-1a). http://www.ema.europa.eu/docs/pl_PL/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/000136/WC500048681.pdf (21.3.2012).
19. Charakterystyka produktu leczniczego octan glatirameru (Copaxone). http://www.sanofi-aventis.com/pl/produkty/Nasze%20produkty/Copaxone_20mg_-_charakterystyka_produkту.pdf (29.5.2012).
20. Zarządzenie Nr 10/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 15 lutego 2012 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie terapeutyczne programy zdrowotne. <http://www.nfz.gov.pl/new/?katnr=3&dzialnr=12&artnr=4795> (21.5.2012).

21. Zarządzenie Nr 16/2009/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 marca 2009 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie terapeutyczne programy zdrowotne. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=12&artnr=3665> (29.5.2012).
22. Zarządzenie 102/2007/DŚOZ/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 listopada 2007 r. zmieniające zarządzenie w sprawie przyjęcia „Szczegółowych materiałów informacyjnych o przedmiocie postępowania w sprawie zawarcia umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej oraz o realizacji i finansowaniu umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju: leczenie szpitalne”. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=12&artnr=2982> (29.5.2012).
23. Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra - na interpelację nr 24345 w sprawie leczenia chorych na stwardnienie rozсіяne. <http://orka2.sejm.gov.pl/IZ6.nsf/main/77AE6F3F> (24.5.2012).
24. Stanowisko Śląskiego Oddziału Wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie kwalifikacji do programu leczenia stwardnienia rozсіяnego. Pismo znak WGL-II-075-18-1/2533/W/TP/11.
25. Komunikat - stanowisko Ministerstwa Zdrowia w sprawie kontynuacji leczenia stwardnienia rozсіяnego w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego po zakończeniu maksymalnego okresu terapii. <http://www.nfz-krakow.pl/index.php?com=komunikaty&id=1020> (24.5.2012).
26. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 24 lutego 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 marca 2014 r. <http://www2.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=q491&ms=&ml=pl&mi=904&mx=0&mt=&my=9&ma=033240> (25.2.2014).
27. Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu zdrowotne (lekowe). <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=12&artnr=4911&szukana=27%2Bdgl> (2.7.2012).
28. Kułakowska A, Bartosik-Psujek H, Hożejowski R, i in. Selected aspects of the epidemiology of multiple sclerosis in Poland - a multicentre pilot study. *Neurologia I Neurochirurgia Polska*. 2010; 44(5):443–452.
29. Shirani A, Zhao Y, Karim ME, i in. Association between use of interferon beta and progression of disability in patients with relapsing-remitting multiple sclerosis. *JAMA: the journal of the American Medical Association*. 2012; 308(3):247–256.
30. Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozсіяnego: NIE dla ograniczeń czasu leczenia! http://www.ptsr.org.pl/pl/?temat=art/show&id=20120816_1500 (14.11.2013).
31. List do Ministerstwa Zdrowia - Fundacja Pomóż Walczyć o Życie. <http://pomozwalczyc.pl/list-do-ministerstwa-zdrowia/> (14.11.2013).
32. Petycja przeciwko ograniczeniu czasu leczenia osób ze stwardnieniem rozсіяnym - www.petycje.pl. <http://www.petycje.pl/petycjePodglad.php?petycjeid=8857> (14.11.2013).
33. MZ chce ograniczyć całkowity czas trwania leczenia SM do 5 lat | StwardnienieRozсіяne.info.pl - stwardnienie rozсіяne (SM). <http://stwardnienierozsiaone.info.pl/aktualnosci/mz-chce-ograniczyc-calkowity-czas-trwania-leczenia-sm-do-5-lat/> (14.11.2013).
34. Opinia Prezesa AOTM w sprawie Zasadość przedłużenia okresu stosowania interferonu beta w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozсіяnego”. http://www.aotm.gov.pl/bip/assets/files/zlecenia_mz/2013/255/OPZ/OP-AOTM_SM.pdf (31.10.2013).
35. PubMed. <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/> (19.4.2012).
36. Główna Biblioteka Lekarska im. Stanisława Konopki. <http://www.gbl.waw.pl/> (19.4.2012).
37. [REDACTED]
38. Potemkowski A. Stwardnienie rozсіяne w świecie i w Polsce - ocena epidemiologiczna. *Aktualn Neurol*. 2009; 2(9):91–97.
39. Potemkowski A. Analiza epidemiologiczna ogniska stwardnienia rozсіяnego na terenie byłego województwa szczecińskiego. *Przegląd Epidemiologiczny*. 2001; (55):331–341.
40. World Health Organization (WHO). <http://www.who.int/en/> (20.4.2012).
41. Multiple Sclerosis International Federation. <http://www.msif.org/pl/index.html> (20.4.2012).
42. Atlas MS. Multiple sclerosis resources in the world (2008). http://www.who.int/mental_health/neurology/Atlas_MS_WEB.pdf (20.4.2012).
43. TPZ „Leczenie stwardnienia rozсіяnego”. Raport ws. oceny świadczenia opieki zdrowotnej (wrzesień 2011). http://www.aotm.gov.pl/assets/files/rada/rekomendacje_stanowiska/2011/R-85-2011-stwardnienie_rozsiane/OT-431_TPZ_leczenie_SM.pdf (21.3.2012).
44. Stwardnienie rozсіяne w Polsce - stanowisko ekspertów. http://www.symfoniaserc.pl/symfoniaserc.php?temat=art/show&id=20100520_1500 (20.4.2012).

45. Alcalde-Cabero E, Almazán-Isla J, García-Merino A, i in. Incidence of multiple sclerosis among European Economic Area populations, 1985-2009: the framework for monitoring. *BMC neurology*. 2013; 13:58.
46. Roczne sprawozdanie z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2007 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=11&artnr=3319> (26.10.2011).
47. Listy oczekujących na świadczenia opieki zdrowotnej - Narodowy Fundusz Zdrowia. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=2&dzialnr=1&artnr=1156> (12.11.2013).

10. SPIS TABEL

Spis tabel

Tabela 1.	Punktowy system kwalifikacji do leczenia interferonem beta.....	11
Tabela 2.	Wartość i zużycie świadczeń – terapie immunomodulujące finansowane przez NFZ – stan aktualny.....	12
Tabela 3.	Liczba pacjentów biorących udział w programie lekowym dla stwardnienia rozsianego w latach 2009–2012.....	17
Tabela 4.	Populacja docelowa – liczba rocznych kursów terapii w I linii leczenia stwardnienia rozsianego w programie lekowym.....	18
Tabela 5.	Populacja docelowa – liczba rocznych kursów terapii interferonem beta-1a i.m. w programie lekowym.....	18
Tabela 6.	Koszty refundacji substancji czynnych stosowanych w programach leczenia SM w latach 2008–2011.....	19
Tabela 7.	Zużycie substancji czynnych stosowanych w programach leczenia SM w roku 2011.....	20
Tabela 8.	Oszacowanie liczby dni terapii (DOT) przypadającej na jedno opakowanie.....	20
Tabela 9.	Zużycie interferonu beta w programie leczenia stwardnienia rozsianego w latach 2011–2013.....	21
Tabela 10.	Zużycie leków w scenariuszu istniejącym przy utrzymaniu maksymalnego czasu terapii (5 lat).....	22
Tabela 11.	Zużycie leków w scenariuszu nowym przy zniesieniu ograniczenia maksymalnego czasu terapii.....	23
Tabela 12.	Cena interferonu beta-1a i.m.....	24
Tabela 13.	Ceny aktualnie refundowanych preparatów zawierających interferon beta lub octan glatirameru (styczeń 2014).....	24
Tabela 14.	Diagnostyka w programie leczenia stwardnienia rozsianego.....	25
Tabela 15.	Koszt podania leków w programie leczenia stwardnienia rozsianego.....	25
Tabela 16.	Prognozowana liczba terapii I linii leczenia SM – scenariusz istniejący.....	27
Tabela 19.	Prognozowana liczba terapii I linii leczenia SM – scenariusz nowy.....	29
Tabela 24.	Opis wariantów analizy wrażliwości.....	33
Tabela 25.	Wyniki jednokierunkowej analizy wrażliwości.....	34
Tabela 26.	Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji polegającej na zniesieniu ograniczenia czasu trwania terapii w programie lekowym leczenia stwardnienia rozsianego.....	35
Tabela 27.	Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań dla analizy wpływu na budżet określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku.....	50
Tabela 28.	Strategie przeszukiwania baz informacji medycznej – epidemiologia stwardnienia rozsianego.....	52
Tabela 29.	Współczynniki chorobowości na stwardnienie rozsiane w Polsce wg Potemkowski 2009.....	53
Tabela 30.	Zapadalność na SM w Europie wg Alcade-Cabero 2013.....	54
Tabela 31.	Zapadalność na stwardnienie rozsiane w Polsce.....	55
Tabela 32.	Umieralność chorych z SM w Polsce w latach 1982–2008 wg Cendrowski 2002.....	56
Tabela 33.	Liczba osób oczekujących i czas oczekiwania na świadczenie terapii stwardnienia rozsianego.....	58

11. ZGODNOŚĆ Z MINIMALNYMI WYMAGANIAMI

Tabela 27.

Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań dla analizy wpływu na budżet określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku

Wymaganie	Rozdział / Strona / Tabela
§ 2.	
Informacje zawarte w analizach muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku, co najmniej w zakresie skuteczności, bezpieczeństwa, cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych.	Ceny, poziom i sposób finansowania zgodne z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z 23 grudnia 2013 roku (rozdział 2.8)
§ 6.1 Analiza wpływu na budżet zawiera:	
1. oszacowanie rocznej liczebności populacji:	-
a. obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana,	Rozdział 2.5
b. docelowej, wskazanej we wniosku,	Rozdział 2.6
c. w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	Rozdział 2.5
2. oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (...)	Rozdział 2.6
3. oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...) ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje;	Rozdział 1.3
4. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), 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 (...)	Rozdział 3.1
5. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), 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 (...)	Rozdział 3.2
6. oszacowanie dodatkowych wydatków (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami (...)	Rozdział 3.3
7. minimalny i maksymalny wariant oszacowania (...)	Rozdział 4
8. zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...)	Rozdziały 2.6, 2.7, 2.8
9. wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...), w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu,	Rozdział 2
10. dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania (...) oraz prognozy (...)	Załącznik do analizy

Wymaganie		Rozdział / Strona / Tabela
§ 6.2		
Oszacowania (...) oraz prognozy (...) dokonywane są w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet.		Rozdział 2.4
§ 6.3		
Oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonuje się w szczególności na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2. (...). Jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet może zawierać dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane.		Analiza została przeprowadzona na podstawie oszacowań liczby pełnych rocznych terapii, którą można przybliżyć liczbę pacjentów (rozdział 2.6).
§ 6.4		
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka (...), oszacowania (...) oraz prognozy (...) powinny być przedstawione w następujących wariantach:	11. z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka	██████████
	12. bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka	██████████
§ 6.5		
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy.		Nie dotyczy – rozdz. 1.6
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust. 2 i wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy.		
§ 8. Analizy, o których mowa w §1, muszą zawierać:		
1. dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji;		Rozdział 9
2. wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii.		

12. ANEKS

12.1. Epidemiologia stwardnienia rozsianego

Ocena skali chorobowości i zapadalności na stwardnienie rozsiane przeprowadzona została w oparciu o systematyczne przeszukanie baz informacji medycznej. Przeszukane zostały bazy MEDLINE (przez PubMed [35]) oraz baza Głównej Biblioteki Lekarskiej (GBL) [36]. W ramach analizy wykorzystano przeszukanie przeprowadzone w ramach analizy wpływu na budżet refundacji natalizumabu w 2012 roku [37]. Dokonano aktualizacji tego przeszukania w celu odnalezienia nowych doniesień naukowych. Strategie wyszukiwania przedstawione zostały w kolejnej tabeli (Tabela 28).

Tabela 28.
Strategie przeszukiwania baz informacji medycznej – epidemiologia stwardnienia rozsianego

Baza informacji medycznej	Strategia wyszukiwania	Data przeszukania	Wynik
GBL	Stwardnienie rozsiane AND 2012–2013	07.11.2013	58
MEDLINE (przez Pubmed)	(multiple sclerosis OR sclerosis multiplex) AND (epidemiology OR burden OR incidence OR prevalence OR population OR registry) AND (systematic AND review) Limits: Humans, English, Polish, 2012–2013	07.11.2013	43

12.1.1. Chorobowość

Najnowszym odnalezionym i zarazem najbardziej kompleksowym opracowaniem z zakresu polskiej epidemiologii stwardnienia rozsianego jest publikacja Potemkowski 2009 [38]. W opracowaniu tym autor dokonał przeglądu doniesień naukowych dotyczących podstawowych wskaźników epidemiologicznych związanych ze stwardnieniem rozsianym, a następnie porównał wartości raportowane w Polsce z wartościami z innych regionów świata.

Autor opracowania zidentyfikował 9 publikacji, w których analizowano wskaźniki epidemiologiczne stwardnienia rozsianego w Polsce. Lata, jakie przypadły na opublikowanie omawianych doniesień zawierają się w przedziale od 1954 do 2008 roku. W żadnym z nich nie analizowano chorobowości na stwardnienie rozsiane w skali całego kraju, dostępne były wyłącznie dane dla niektórych terenów i miast. Zestawienie raportowanych w omawianych badaniach współczynników chorobowości przedstawiono poniżej (Tabela 29).

Tabela 29.
Współczynniki chorobowości na stwardnienie rozsiane w Polsce wg Potemkowski 2009

Publikacja	Region	Chorobowość na 100 tys. ludności
Cendrowski 1954a	Bydgoszcz	43
Cendrowski 1954b	Krosno	37
Fryze 1995	Tczew	75
Łobińska 2001	Lublin	57
Potemkowski 1993	Szczecińskie	55
Potemkowski 2005	Szczecińskie	59
Szpernałowska 2008	Szczecińskie	91
Wender 1965	Wielkopolska	65
Wender 1981	Wielkopolska	45

Zaprezentowane powyżej dane wskazują, że pod względem chorobowości na stwardnienie rozsiane Polska znajduje się w grupie krajów wysokiego ryzyka. Należy jednak zauważyć, że lokalny charakter przeprowadzonych badań w znacznym stopniu ogranicza możliwość wnioskowania o chorobowości ogólnej na stwardnienie rozsiane w Polsce. Jest to szczególnie istotne w kontekście omawianej jednostki chorobowej, ponieważ stwardnienie rozsiane cechuje się występowaniem tak zwanych „ognisk” epidemicznych, w których współczynniki chorobowości i zapadalności są wyższe, niż w przypadkach sąsiadujących z nimi terytoriów [39].

Próbę oszacowania chorobowości stwardnienia rozsianego w Polsce podjęto także w ramach projektu Światowej Organizacji Zdrowia (WHO [40]) we współpracy z Międzynarodową Federacją Chorych na Stwardnienie Rozsiane (MSIF [41]). W trzyletnim okresie badania (2005–2007) zebrano szacunkowe dane epidemiologiczne dotyczące 112 krajów ze wszystkich regionów świata. Metodykę badania oparto na specjalnie w tym celu zaprojektowanym kwestionariuszu, który rozesłano do ekspertów z zakresu leczenia stwardnienia rozsianego w poszczególnych państwach. Pomimo istotnych ograniczeń metodycznych (zebrane dane w połowie przypadków pochodziły od jednego eksperta, mogły także być oparte na subiektywnych opiniach), publikacja Atlas MS [42] stanowi najbardziej kompleksowe opracowanie dotyczące epidemiologii stwardnienia rozsianego w skali całego świata.

Globalnie, mediana rozpowszechnienia stwardnienia rozsianego wyniosła 30 / 100 tys. ludności, przy czym wskaźniki w poszczególnych państwach zawierały się w przedziale 5–80 / 100 tys. ludności. Wnioski płynące z raportu potwierdzają również doniesienia o wysokich wskaźnikach chorobowości stwardnienia rozsianego w Europie – mediana omawianego współczynnika dla Europy wyniosła 80 / 100 tys. ludności i była najwyższa spośród wszystkich analizowanych regionów.

Polska znalazła się w kręgu państw, wśród których raportowane przez ekspertów współczynniki chorobowości były najwyższe – wartość współczynnika osiągnęła poziom 120 / 100 tys. ludności (ok. 45 tys. osób w skali kraju). Liczba ta nie znajduje swojego odzwierciedlenia w wynikach badań epidemiologicznych przeprowadzonych w Polsce, w których raportowane wskaźniki chorobowości są średnio dwukrotnie niższe. Pokrywa się ona jednak m.in. z szacunkami dokonanyymi we wrześniu 2011 roku przez AOTM [43], a także ze stanowiskiem Doradczej Komisji Medycznej przy Polskim Towarzystwie Stwardnienia Rozsianego (PTSR) [44], według których obecnie 40–60 tys. mieszkańców Polski choruje na stwardnienie rozsiane.

Według szacunków eksperta, wśród tej grupy ok 15–17 tys. osób powinno otrzymywać leczenie immunomodulujące [7].

12.1.2. Zapadalność

Zapadalność na SM w Europie

Wskaźnik zapadalności dostarcza informacji na temat tego, ilu nowych zachorowań można spodziewać się na danym terytorium w wyznaczonym okresie.

Najbardziej aktualną odnaniezoną publikacją zawierającą dane dotyczące zapadalności na SM w Europie jest Alcade-Cabero 2013 [45]. Jest to przegląd 11 publikacji zawierających informacje na temat zapadalności na SM w krajach Europejskiego Obszaru Gospodarczego. Współczynnik surowy zapadalności różni się w zależności od regionu i okresu badań. Średni współczynnik surowy wynosi 6,28 / 100 tys. ludności (Tabela 30).

Tabela 30.
Zapadalność na SM w Europie wg Alcade-Cabero 2013

Badanie	Populacja	Okres	Współczynnik surowy zapadalności		
			Kobiety	Mężczyźni	Ogółem
Alonso 2007	Wielka Brytania	1993–2000	7,42	3,44	5,47
Cabre 2009	Antyle Francuskie	1992–2007	1,75	0,46	1,14
Debouverie 2007	Lotaryngia (Francja)	1990–2002	7,68	3,26	5,51
Granieri 2007	Ferrara (Włochy)	1990–2003	5,39	2,25	3,83
Granieri 2008	San Marino (Włochy)	1990–2005	11,69	3,96	7,93
Guidetti 1995	Reggio Emilia i Modena (Włochy)	1985–1990	2,37	0,99	1,70
Joensen 2010	Wyspy Owcze (Dania)	1986–2007	5,51	5,21	4,32
Nicoletti 2005	Katania (Włochy)	1990–1999	5,87	3,65	4,81
Nicoletti 2011	Katania (Włochy)	2000–2004	8,43	5,28	6,94

Badanie	Populacja	Okres	Współczynnik surowy zapadalności		
			Kobiety	Mężczyźni	Ogółem
Sundström 2003	Västerbotten (Szwecja)	1988–1997	6,73	3,69	5,21
Średnia			6,28	3,22	4,69

Zapadalność na SM w Polsce

Odnalezione dane dotyczące zapadalności na stwardnienie rozsiane w Polsce pozwalają na szacowanie rocznej liczby nowych przypadków w zakresie od 1,43 / 100 tys. ludności do 4,40 / 100 tys. ludności, co w przybliżeniu przekłada się na 500–1 700 nowych zachorowań rocznie. Zestawienie polskich badań, w których oszacowywano współczynniki zapadalności na stwardnienie rozsiane, przedstawiono w poniższej tabeli (Tabela 31).

Tabela 31.
Zapadalność na stwardnienie rozsiane w Polsce

Publikacja	Region	Zapadalność na 100 tys. osób	Okres badania
Stelmasiak 2004	Lublin	1,70	bd
		2,16	1993–1995
Potemkowski 1999	Szczecińskie	2,34	1993
		1,81	1994
		2,36	1995
		2,35	1993–1995
		1,87	1993
	Szczecin	2,23	1994
		2,15	1995
		4,40	1960–1969
		3,13	1970–1979
		2,64	1980–1986
Fryze 1996	Tczew	1,43	1987–1992
		2,70	bd
Wender 1985	Wie kopolska	3,70	1979–1981
Potemkowski 2005	Szczecin	2,44	2000–2005
Wender 1987	Dawne województwa: poznańskie, konińskie, leszczyńskie, kaliskie, piłskie	2,68	1979–1981

12.1.3. Umieralność

Najbardziej aktualne Polskie dane na temat umieralności w populacji pacjentów z SM zostały opisane w publikacji Cendrowski 2012 [46]. Podaje ona informacje na temat współczynników umieralności w latach 1982–2008 na podstawie danych zaczerpniętych z Głównego Urzędu Statystycznego.

Średni roczny współczynnik umieralności dla chorych z SM w latach 1982–2008 wyniósł 1,22 / 100 tys. ludności. Współczynnik ten był wyraźnie niższy w latach 1996–2008 niż w latach 1982–1995 (1,10 vs. 1,33). Roczne współczynniki dostosowane do płci wskazują na większą umieralność wśród kobiet niż wśród mężczyzn, a średnie ich wartości w latach 1982–2008 wynoszą odpowiednio 1,36 / 100 tys. kobiet oraz 1,07 / 100 tys. mężczyzn. Szczegółowe wartości współczynników umieralności na SM w Polsce w latach 1982–2008 przedstawiono w tabeli poniżej (Tabela 32).

Tabela 32.
Umieralność chorych z SM w Polsce w latach 1982–2008 wg Cendrowski 2002

Rok	Przeciętne roczne surowe współczynniki umieralności na SM	Przeciętne roczne dostosowane do płci współczynniki umieralności na SM wśród mężczyzn	Przeciętne roczne dostosowane do płci współczynniki umieralności na SM wśród kobiet
1982	1,41	1,37	1,46
1985	1,36	1,37	1,35
1986	1,44	1,29	1,57
1987	1,28	1,09	1,48
1988	1,38	1,25	1,50
1990	1,36	1,26	1,54
1991	1,42	1,26	1,57
1992	1,26	1,10	1,41
1993	1,23	1,02	1,44
1994	1,26	0,98	1,48
1995	1,24	1,07	1,39
1982–1995 Średnia (±SD)	1,33 (±0,078)	1,19 (±0,139)	1,47 (±0,072)
1996	1,29	1,19	1,38
1997	0,92	0,90	0,96
1998	0,85	0,77	0,93
1999	1,19	1,09	1,29
2000	1,13	0,92	1,33
2001	1,19	1,00	1,37
2002	1,16	0,98	1,33
2003	1,11	0,84	1,37
2004	0,98	0,85	1,10

Rok	Przeciętne roczne surowe współczynniki umieralności na SM	Przeciętne roczne dostosowane do płci współczynniki umieralności na SM wśród mężczyzn	Przeciętne roczne dostosowane do płci współczynniki umieralności na SM wśród kobiet
2007	1,14	0,92	1,34
2008	1,15	0,91	1,37
1996–2008 Średnia (±SD)	1,10 (±0,130)	0,94 (±0,118)	1,25 (±0,171)
1982–2008 Średnia (±SD)	1,22 (±0,158)	1,07 (±0,178)	1,36 (±0,170)

12.2. Ograniczenia w dostępie do świadczeń – kolejki

Dane o kolejkach do leczenia stwardnienia rozsianego w ramach programu lekowego pobrano dnia 12. listopada 2013 ze strony Narodowego Funduszu Zdrowia [47]. Stan na sierpień 2013 pokazuje, że w kolejce do rozpoczęcia terapii oczekują 917 osoby w stanie stabilnym oraz 103 osoby w stanie pilnym, łącznie 1020 chorych (Tabela 33). Względem liczby osób leczonych – 4,7 tys. osób w 2012 roku – liczba osób oczekujących na terapię stanowi ok. 20% liczby osób leczonych.

Najwięcej oczekujących w stanie stabilnym jest w województwie dolnośląskim (187 osoby) i pomorskim (171 osób). Z raportów o kolejkach na stronie NFZ wynika, że w województwach podlaskim, świętokrzyskim, śląskim i zachodniopomorskim nie ma osób oczekujących. Należy jednak mieć na uwadze, że nie wszystkie dane są aktualne. Chociaż dane z tych województw są danymi w większości z sierpnia 2013, to w przypadku niektórych placówek w województwie śląskim ostatnia aktualizacja danych miała miejsce w lipcu 2013.

W stanie pilnym oczekuje zdecydowanie mniej osób niż w stanie stabilnym. Z danych z sierpnia 2013 wynika, że najwięcej oczekujących w stanie pilnym jest w województwie kujawsko-pomorskim (29 osób) i dolnośląskim (27 osób), natomiast w województwach lubuskim, małopolskim, śląskim, świętokrzyskim, warmińsko-mazurskim, opolskim, zachodniopomorskim i podkarpackim nie zarejestrowano osób oczekujących.

Brany pod uwagę średni czas oczekiwania oznacza przeciętną liczbę dni, jaką oczekiwały na udzielenie świadczenia osoby skreślone z listy oczekujących z powodu wykonania świadczenia. Średni czas oczekiwania jest liczony wyłącznie na podstawie informacji o osobach znajdujących się na liście oczekujących, którym w okresie ostatnich 6 miesięcy udzielono świadczenia i z tego powodu zostały skreślone z listy. Nie będą więc brane pod uwagę informacje o osobach, którym wykonano świadczenie w trybie nagłym, jak również o osobach, które znajdują się w planie leczenia i wymagają okresowego, w ściśle ustalonych terminach, wykonywania kolejnych etapów świadczenia. Średni czas oczekiwania wynoszący 0 dni może oznaczać dwie sytuacje: świadczenia są udzielane na bieżąco lub w okresie ostatnich 6 miesięcy nikt nie został skreślony z listy oczekujących z powodu wykonania świadczenia. W związku z tym w analizie nie oszacowano średniego czasu oczekiwania

na świadczenie – w kilku przypadkach dane wskazywały bowiem na fakt, że w półroczu poprzedzającym przygotowanie raportu nie skreślono nikogo z listy osób oczekujących, co oznaczane jest wartością „0” przy średnim czasie oczekiwania a jednocześnie – w ośrodkach tych raportowano oczekujących na terapię, co nie pozwala na oznaczenie realnego czasu oczekiwania w przypadku danego świadczeniodawcy.

Z danych NFZ wynika, że spośród chorych w stanie pilnym najdłuższy czas oczekiwania na terapię jest w województwie kujawsko-pomorskim (204 dni), dolnośląskim (185 dni) oraz pomorskim (130 dni). Są to jednak pojedyncze placówki (Wojskowy Szpital Kliniczny Z Polikliniką w Bydgoszczy, Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza-Radeckiego we Wrocławiu oraz Szpital Specjalistyczny św. Wojciecha w Gdańsku). W przypadku pozostałych świadczeniodawców czas oczekiwania zwykle nie przekracza miesiąca (w większości jest równy 0).

Czas oczekiwania chorych w stanie stabilnym jest najdłuższy w województwie dolnośląskim (919 dni) oraz pomorskim (628 dni). Jednak nawet w tych województwach są placówki, w których czas oczekiwania na świadczenie terapii SM jest znacznie krótszy (0 dni w dolnośląskim, 2 dni w pomorskim). Natomiast w województwie opolskim minimalny czas oczekiwania dla pacjentów w stanie stabilnym wynosi 60 dni, a w województwie warmińsko-mazurskim – 38 dni.

Należy równocześnie zwrócić uwagę, że kwalifikacja pacjentów do programu leczenia stwardnienia rozsianego jest – niezależnie od limitów dla świadczeń w programie lekowym – ograniczana przez dostępność badań poprzedzających zakwalifikowanie chorego do leczenia systemowego. Warunkiem kwalifikacji do programu jest specjalistyczne badanie neurologiczne i badanie MRI – czas oczekiwania na oba wymieniane świadczenia może obecnie przekraczać kilka miesięcy.

Tabela 33.
Liczba osób oczekujących i czas oczekiwania na świadczenie terapii stwardnienia rozsianego

Województwo	Ostatnia aktualizacja danych	Liczba oczekujących		Czas oczekiwania [dni]	
		Przypadek stabilny	Przypadek pilny	Przypadek stabilny	Przypadek pilny
dolnośląskie	08/2013	187	27	0–919	0–185
kujawsko-pomorskie	08/2013	51	29	0–44	0–204
lubelskie	07/2013 08/2013	92	7	0–215	0
lubuskie	08/2013	5	0	0–125	0
łódzkie	08/2013	109	7	0–207	0–53
małopolskie	07/2013 08/2013	21	0	0–199	0
mazowieckie	06/2013 08/2013	119	11	0–158	0–33
opolskie	08/2012	3	0	60–76	0
podkarpackie	08/2013	5	0	0–36	0

Województwo	Ostatnia aktualizacja danych	Liczba oczekujących		Czas oczekiwania [dni]	
		Przypadek stabilny	Przypadek pilny	Przypadek stabilny	Przypadek pilny
podlaskie	08/2013	0	9	0	35
pomorskie	06/2013 07/2013 08/2013	171	10	2–628	0–130
śląskie	07/2013 08/2013	0	0	0–144	0
świętokrzyskie	08/2013	0	0	0–244	0–27
warmińsko-mazurskie	08/2013	34	0	38–60	0
wielkopolskie	08/2013	120	3	0–238	0
zachodniopomorskie	08/2013	0	0	0	0
RAZEM		917	103	-	-