



---

**Ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego  
decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania  
produktu leczniczego Xeomin® (toksyna botulinowej typu A) w  
leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu w  
ramach programu lekowego**

**ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA**



Wersja 1.00

Kraków, maj 2019

**LISTA OSÓB ZAANGAŻOWANYCH W OPRACOWANIE ANALIZY WPŁYWU NA SYSTEM  
OCHRONY ZDROWIA**

<p><b>Analizę ekonomiczną opracowało</b> (nazwa firmy, dane kontaktowe)</p>	<p>Centrum HTA Sp. z o.o. OTM Spółka komandytowa Os. Mozarta 1/29, 31 - 232 Kraków e-mail: centrumhta@centrumhta.com telefon: 0 607 345 792</p>	
<p><b>Autorzy analizy wpływu na system ochrony zdrowia</b></p>	<p><b>Imię i nazwisko</b></p>	<p><b>Wkład pracy</b></p>
	<p>[REDACTED]</p>	<p>[REDACTED]</p>
	<p>[REDACTED]</p>	<p>[REDACTED]</p>
<p><b>Analiza ekonomiczna została wykonana na zlecenie i sfinansowana przez (nazwa firmy, dane kontaktowe)</b></p>	<p>[REDACTED]</p>	
<p><b>Konflikt interesów</b></p>	<p>Autorzy nie zgłosili konfliktu interesów innych niż wynikających z prowadzonej działalności Centrum HTA</p>	

---

## SPIS TREŚCI

INDEKS AKRONIMÓW WYKORZYSTYWANYCH W OPRACOWANIU .....	4
KLUCZOWE INFORMACJE Z ANALIZY .....	5
STRESZCZENIE .....	6
1. CEL ANALIZY WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA .....	9
2. METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET .....	9
2.1. OCENIANA TECHNOLOGIA I SPOSÓB JEJ FINANSOWANIA .....	10
2.2. PERSPEKTYWA ANALIZY .....	12
2.3. HORYZONT CZASOWY ANALIZY .....	13
2.4. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE I PUNKTY KOŃCOWE ANALIZY .....	14
2.5. CHARAKTERYSTYKA I LICZEBNOŚĆ ANALIZOWANEJ POPULACJI .....	16
2.6. ANALIZA WPŁYWU NA SKUTKI ZDROWOTNE .....	22
2.7. KOSZTY UWZGLĘDNIONE W OPRACOWANIU .....	22
2.8. METODY ESTYMACJI WYNIKÓW ANALIZY W UJĘCIU POPULACYJNYM .....	24
2.9. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI I WYKAZ PARAMETRÓW ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET .....	25
3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET .....	27
3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO .....	27
3.2. WARIANT PRAWDOPODOBNY, MINIMALNY I MAKSYMALNY .....	28
3.3. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI .....	30
4. ANALIZA ZUŻYTYCH ZASOBÓW .....	34
5. ANALIZA WPŁYWU NA EFEKTY ZDROWOTNE .....	36
6. ANALIZA WPŁYWU NA ORGANIZACJĘ UDZIELANIA ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH .....	36
7. ASPEKTY ETYCZNE I SPOŁECZNE .....	36
8. OGRANICZENIA ANALIZY .....	36
9. DYSKUSJA .....	38
10. WNIOSKI KOŃCOWE .....	38
11. OCENA ZAPOTRZEBOWANIA NA ANALIZĘ RACJONALIZACYJNĄ .....	39
12. BIBLIOGRAFIA .....	41
13. SPIS TABEL .....	45
14. SPIS RYSUNKÓW .....	46
15. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY .....	47

## INDEKS AKRONIMÓW WYKORZYSTYWANYCH W OPRACOWANIU

Akronim / skrót	Interpretacja (pełna nazwa)
<b>AOTMiT</b>	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
<b>BIA</b>	ang. <i>Budget Impact Analysis</i> ; Analiza wpływu na budżet
<b>CI</b>	ang. <i>Confidence Interval</i> ; Przedział ufności
<b>LCI</b>	ang. <i>Lower Confidence Interval</i> ; Dolna granica przedziału ufności
<b>NFZ</b>	Narodowy Fundusz Zdrowia
<b>Perspektywa płatnika publicznego</b>	Perspektywa płatnika publicznego, tj. podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych ze środków publicznych (Narodowego Funduszu Zdrowia)
<b>PICO</b>	ang. <i>Population, Intervention, Comparison, Outcome</i> ; Populacja, interwencja, porównanie, wynik
<b>RSS</b>	ang. <i>Risk Sharing Scheme</i> ; Porozumienie podziału ryzyka
<b>UCI</b>	ang. <i>Upper Confidence Interval</i> ; Górna granica przedziału ufności

## KLUCZOWE INFORMACJE Z ANALIZY

- I. Przeprowadzona analiza pozwoliła ocenić wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce podjęcia decyzji dotyczącej ponownego finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Xeomin® (toksyna botulinowa typu A) w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu, w ramach programu lekowego.
- II. Przeprowadzono ocenę liczebności populacji docelowej na podstawie danych Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) z lat 2016 – 2018 [62]-[64] (wnioskowana technologia była refundowana w analizowanym wskazaniu w tym okresie). Ustalono, że w horyzoncie analizy liczba pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu wymagająca podawania toksyny botulinowej typu A wyniesie: [REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]
- III. W ramach analizy wpływu na budżet ustalono, że wydatki z budżetu płatnika publicznego przeznaczone na refundację ceny produktu leczniczego Xeomin® stosowanego w analizowanym wskazaniu wyniosą:
  - przy pominięciu proponowanego porozumienia podziału ryzyka (RSS):  
[REDACTED]  
[REDACTED]
  - przy uwzględnieniu RSS:  
[REDACTED]  
[REDACTED]
- IV. Wyniki analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie ze środków publicznych wnioskowanej technologii w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu związane będzie z inkrementalną zmianą netto całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego na poziomie (ujemne wartości określają oszczędności dla płatnika publicznego):
  - przy pominięciu RSS:  
[REDACTED]  
[REDACTED]
  - przy uwzględnieniu RSS:  
[REDACTED]  
[REDACTED]
- V. Analiza wrażliwości potwierdziła wnioski z analizy podstawowej. **Niezależnie od scenariusza analizy wrażliwości stosowanie wnioskowanej technologii przy uwzględnieniu porozumienia podziału ryzyka generowało oszczędności dla płatnika publicznego (ceny pozostałych preparatów toksyny botulinowej typu A określono na podstawie komunikatów DGL NFZ).** Maksymalne dodatkowe nakłady finansowe w wariantcie bez RSS nie przekraczały [REDACTED]

## STRESZCZENIE

### CEL ANALIZY

Celem analizy była ocena wpływu na system ochrony zdrowia podjęcia decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Xeomin® (toksyna botulinowa typu A) w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu, w ramach programu lekowego.

Analizowane wskazanie uwzględnione jest w aktualnie realizowanym programie lekowym B.57. „Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69)”, w którym refundowane są pozostałe preparaty toksyny botulinowej typu A (Botox®, Dysport®) i w którym wnioskowana technologia była refundowana do listopada 2018 roku.

### METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY

Zgodnie z wymogami Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) sprecyzowano kontekst niniejszego etapu oceny technologii medycznych. Schemat PICO (ang. *population, intervention, comparison, outcome*; populacja, interwencja, porównanie, wynik [osobno: efekt zdrowotny określony na podstawie badań klinicznych i punkt końcowy analizy wpływu na budżet]) [1] niniejszej analizy przedstawia się następująco:

- populację stanowili dorośli pacjenci ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu zgodnie z kryteriami włączenia do proponowanego programu lekowego (P),
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Xeomin® z opieką wspomagającą (I),
- wnioskowaną technologię porównano ze stosowaniem refundowanych preparatów toksyny botulinowej typu A (Botox®, Dysport®) podawanych wraz z opieką wspomagającą (C),
- w opracowaniu przyjęto taką samą skuteczność i profil bezpieczeństwa porównywanych schematów leczenia. Uwzględniono wyłącznie różnice w zakresie zużycia porównywanych preparatów toksyny botulinowej typu A w celu osiągnięcia takich samych efektów klinicznych [41] (O),
- wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet zaprezentowano w ujęciu wszystkich pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku pod postacią: liczebności populacji pacjentów, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 Rozporządzenia [3], aktualnych wydatków na leczenie pacjentów z analizowanej populacji oraz prognozowanych wydatków na 2 lata realizacji proponowanego programu lekowego, zgodnie z zapisami Rozporządzenia Ministra Zdrowia [3] (por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych) ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii (*status quo*, „scenariusz istniejący”; brak finansowania ze środków publicznych leczenia spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z wykorzystaniem leku Xeomin®) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz”; por. rozdział 2.4.).

Uwzględniono sugerowaną cenę zbytu netto wnioskowanej technologii [REDACTED]

[REDACTED] W opracowaniu uwzględniono również proponowane porozumienie podziału ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*; RSS) polegające [REDACTED]

W opracowaniu założono refundację wnioskowanej technologii w ramach istniejącej grupy limitowej „1055.1, toksyny botulinowe - 1”, w której wnioskowana technologia jest objęta refundacją przy stosowaniu w leczeniu kurczu powiek i dystonii

szyjnej z przewagą komponenty rotacyjnej (tj. kurczowego kręczy szyi). Zgodnie z art. 14 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie jako lek stosowany w programie lekowym.

W ramach wariantu bez RSS uwzględniono oficjalne ceny i limity finansowania aktualnie refundowanych preparatów toksyny botulinowej typu A; w wariacie z RSS dla wnioskowanej technologii uwzględniono koszt aktualnie refundowanych preparatów toksyny botulinowej typu A określony na podstawie komunikatu DGL NFZ za 2018 rok [49].

W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny wielkości populacji docelowej: wariant najbardziej prawdopodobny („średni”), wariant „minimalny” i wariant „maksymalny”.

Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na wielkość populacji docelowej zarówno w ramach scenariusza istniejącego jak i scenariusza nowego.

Przeprowadzono ocenę liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy uwzględnieniu danych NFZ za lata 2016 – 2018 [62]-[64], czyli za okres, w którym wnioskowana technologia była refundowana w analizowanym wskazaniu. Odsetek wykorzystania wnioskowanej technologii wśród preparatów zawierających 100 jednostek w fiole (Xeomin<sup>®</sup>, Botox<sup>®</sup>; NFZ raportują te preparaty łącznie) określono na podstawie: liczby wykorzystanych fiolek w ramach programów lekowych dla toksyny botulinowej typu A [62]-[64] i rocznej liczbie sprzedanych opakowań poszczególnych preparatów [42], [43], [49], przy uwzględnieniu korekty wynikającej z różnic we wskazaniach do stosowania preparatów Xeomin<sup>®</sup> (w latach 2016 – 2018 stosowany w programach: B.28. i B.57.) i Botox<sup>®</sup> (w latach 2016 – 2018 stosowany w programach: B.28., B.30., B.57., B.73. i B.83.).

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych [41]. W ramach niniejszej analizy wpływu na budżet przy ocenie wydatków z budżetu płatnika publicznego wykorzystano założenia i wartości parametrów wejściowych modelu decyzyjnego szczegółowo opisanego na etapie Analizy ekonomicznej [102].

Przeprowadzona analiza wpływu na system ochrony zdrowia decyzji dotyczącej finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych zgodna jest z Wytycznymi AOTMiT dla przeprowadzania ocen technologii lekowych [1] oraz spełnia minimalne wymagania Ministra Zdrowia przedstawione w rozporządzeniu [3].

## WYNIKI I WNIOSKI

Ustalono, że w horyzoncie analizy liczba pacjentów ze spastyecznością kończyny górnej po udarze mózgu wymagająca podawania toksyny botulinowej typu A wyniesie:

■ [REDAKOWANE]  
■ [REDAKOWANE]

Liczba chorych leczona lekiem Xeomin<sup>®</sup> w przypadku jego refundacji wyniesie:

■ [REDAKOWANE]  
■ [REDAKOWANE]

Wyniki przeprowadzonej analizy wpływu na budżet wskazują, że podjęcie pozytywnej decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Xeomin<sup>®</sup> w leczeniu spastyeczności kończyny górnej będzie związane z niewielkim wzrostem wydatków z budżetu płatnika publicznego przeznaczonego na finansowanie świadczeń gwarantowanych wśród pacjentów z analizowanej populacji, ale wyłącznie w przypadku pominięcia proponowanego porozumienia podziały ryzyka (RSS). **W wariacie uwzględniającym RSS dla wnioskowanej technologii oraz ceny refundowanych preparatów toksyny botulinowej na podstawie komunikatu DGL NFZ z 2018 roku [49] wykazano, że finansowanie wnioskowanej technologii generować będzie oszczędności dla płatnika publicznego.**

W ramach analizy wpływu na budżet ustalono, że wydatki z budżetu płatnika publicznego przeznaczone na refundację ceny produktu leczniczego Xeomin® stosowanego w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu wyniosą (tylko koszt leku):

- przy pominięciu proponowanego porozumienia podziału ryzyka (RSS):

[Redacted]

- przy uwzględnieniu RSS:

[Redacted]

Wyniki analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie ze środków publicznych wnioskowanej technologii w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu związane będzie z inkrementalną zmianą netto całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego na poziomie (ujemne wartości określają **oszczędności** dla płatnika publicznego):

- przy pominięciu RSS:

[Redacted]

- przy uwzględnieniu RSS:

[Redacted]

Wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości potwierdziły przedstawione wnioski i założenia niniejszej analizy.

**Niezależnie od scenariusza analizy wrażliwości stosowanie wnioskowanej technologii przy uwzględnieniu porozumienia podziału ryzyka generowało oszczędności dla płatnika publicznego (ceny pozostałych preparatów toksyny botulinowej typu A określono na podstawie komunikatów DGL NFZ). Maksymalne dodatkowe nakłady finansowe w wariantcie bez RSS nie przekraczały [Redacted]**



## 1. CEL ANALIZY WPLYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

Celem analizy była ocena wpływu na system ochrony zdrowia podjęcia decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Xeomin® (toksyna botulinowa typu A) w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu, w ramach programu lekowego.

Analizowane wskazanie uwzględnione jest w aktualnie realizowanym programie lekowym B.57. „Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69)”, w którym refundowane są pozostałe preparaty toksyny botulinowej typu A (Botox®, Dysport®) i w którym wnioskowana technologia (Xeomin®) była refundowana do listopada 2018 roku.

## 2. METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY WPLYWU NA BUDŻET

Zgodnie z wymogami Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) sprecyzowano kontekst niniejszego etapu oceny technologii medycznych. Schemat PICO (ang. *population, intervention, comparison, outcome*; populacja, interwencja, porównanie, wynik – osobno: efekt zdrowotny określony na podstawie badań klinicznych i punkt końcowy analizy wpływu na budżet) [1] niniejszej analizy przedstawia się następująco:

- populację stanowili dorośli pacjenci ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu zgodnie z kryteriami włączenia do proponowanego programu lekowego (P),
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Xeomin® z opieką wspomagającą (I),
- wnioskowaną technologię porównano ze stosowaniem refundowanych preparatów toksyny botulinowej typu A (Botox®, Dysport®) podawanych wraz z opieką wspomagającą (C),
- w opracowaniu przyjęto taką samą skuteczność i profil bezpieczeństwa porównywanych schematów leczenia. Uwzględniono wyłącznie różnice w zakresie zużycia porównywanych preparatów toksyny botulinowej typu A w celu osiągnięcia takich samych efektów klinicznych [41] (O),
- wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet zaprezentowano w ujęciu wszystkich pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku pod postacią: liczebności populacji pacjentów, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 Rozporządzenia [3], aktualnych wydatków na leczenie pacjentów z analizowanej populacji oraz prognozowanych wydatków na 2 lata realizacji proponowanego programu lekowego, zgodnie z zapisami Rozporządzenia Ministra Zdrowia [3] (por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych) ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii (*status quo*, „scenariusz istniejący”; brak finansowania ze środków publicznych stosowania wnioskowanej technologii w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz”; por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny zakresu wpływu finansowania ocenianego produktu na budżet płatnika publicznego i liczebności populacji docelowej: wariant najbardziej prawdopodobny, wariant „minimalny” i wariant „maksymalny”.

Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na wielkość populacji docelowej i zużycie zasobów medycznych, zarówno w ramach scenariusza istniejącego jak i scenariusza nowego.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych przygotowanego przez Centrum HTA Sp. z o.o. OTM Sp. komandytowa [41]. Przy ocenie wydatków z budżetu płatnika publicznego, w ramach niniejszej analizy wpływu na budżet wykorzystano wartości parametrów i założenia modelu decyzyjnego, szczegółowo opisanego na etapie Analizy ekonomicznej [102].

W niniejszej analizie wykorzystano ogólnie akceptowalne metody biostatystyczne i epidemiologiczne [1]-[29], [34], [35].

Przeprowadzona analiza wpływu na system ochrony zdrowia decyzji dotyczącej finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych zgodna jest z Wytocznymi AOTMiT dla przeprowadzania ocen technologii lekowych [1] oraz spełnia minimalne wymagania Ministra Zdrowia przedstawione w rozporządzeniu [3].

## **2.1. OCENIANA TECHNOLOGIA I SPOSÓB JEJ FINANSOWANIA**

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o rozszerzenie wskazań objętych refundacją produktu leczniczego Xeomin® w ramach części B Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych („Leki dostępne w ramach programu lekowego”) umożliwiające stosowanie wnioskowanej technologii w ramach proponowanego programu lekowego dla pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu [40].

Wnioskowana technologia jest obecnie finansowana ze środków publicznych w Polsce w innym wskazaniu – w leczeniu kurczu powiek i dystonii szyjnej z przewagą komponenty rotacyjnej, tj. kurczowego kręczu szyi (programy lekowy B.28. „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G 24.3, G 24.4, G 24.5, G 24.8, G 51.3)” [37], a do listopada 2018 roku była refundowana w analizowanym wskazaniu w ramach programu lekowego B.57. „Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69)”.

W opracowaniu uwzględniono refundację wnioskowanej technologii w ramach istniejącej grupy limitowej „1055.1, toksyny botulinowe - 1”, gdyż rozważana decyzja sprowadza się do rozszerzenia zakresu wskazań do stosowania wnioskowanej technologii objętych refundacją. Na tej podstawie refundacja w istniejącej grupie zgodna jest z zapisami art. 15 ust. 2 i 3 ustawy o refundacji [30].

Zgodnie z art. 14 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie.

Analiza aspektów ustawy o refundacji leków [30] dotycząca kwalifikacji do osobnej lub istniejącej grupy limitowej została zestawiona w tabeli poniżej.

**Tabela 1. Ocena zasadności kwalifikacji Xeomin® do istniejącej grupy limitowej.**

<b>Ustawowe kryteria kwalifikacji - art. 15 ust. 2 i 3 [30]</b>	<b>Aspekty związane z refundacją Xeomin®</b>
<b>Ta sama nazwa międzynarodowa lub inna nazwa międzynarodowa, ale podobne działanie terapeutyczne i zbliżony mechanizm działania leków we wspólnej grupie</b>	<b>Spełnione dla grupy „1055.1, toksyny botulinowe - 1”.</b> Taka sama technologia [37]
<b>Taki sam zakres wskazań objętych refundacją leków we wspólnej grupie</b>	<b>Niespełnione.</b> Decyzja dotyczy rozszerzenia zakresu wskazań dla refundowanej technologii
<b>Podobna skuteczność leków we wspólnej grupie</b>	<b>Spełnione dla grupy „1055.1, toksyny botulinowe - 1”.</b> Taka sama technologia [37]
<b>Droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny – oddzielna grupa</b>	<b>Niespełnione dla grupy „1055.1, toksyny botulinowe - 1”.</b> Taka sama technologia [37]
<b>Podobny efekt zdrowotny lub podobny dodatkowy efekt zdrowotny pomimo odmiennych mechanizmów działania leków we wspólnej grupie</b>	<b>Niespełnione dla grupy „1055.1, toksyny botulinowe - 1”.</b> Taka sama technologia [37]

Wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Xeomin® z opieką wspomagającą w leczeniu spastyczności kończyny górnej. Wnioskowaną technologię porównano ze stosowaniem pozostałych, aktualnie refundowanych, preparatów toksyny botulinowej typu A podawanych z opieką wspomagającą [40].

Szczegółowe informacje na temat wnioskowanej technologii zamieszczono w Analizie problemu decyzyjnego [40].

W opracowaniu uwzględniono średnie roczne zużycie wnioskowanej technologii na każdego pacjenta ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu, stosującego toksynę botulinową typu A pod postacią fiołki zawierającej 100 jednostek w 2018 roku [64] (991 pacjentów stosujących 399 690 jednostek, czyli 3 996,90 fiołek po 100 jednostek – średnie wykorzystanie równe 4,03 fiołki na pacjenta, na rok\*).

Powyższy parametr dotyczy każdego pacjenta leczonego co najmniej 1 raz w ramach programu B.57. w 2018 roku. Oznacza to, że uwzględniona liczba pacjentów (991) obejmuje zarówno pacjentów leczonych jednokrotnie w programie (np. pacjentów rozpoczynających leczenie w programie pod koniec roku, lub przyjmujących analizowane leki po raz ostatni w tym programie w danym roku) jak i pacjentów leczonych przez cały rok. Struktura grup pacjentów stosujących fiołki 100, 300 i 500 jednostek może się różnić między sobą (np. większy odsetek pacjentów kończących leczenie z wykorzystaniem fiołki 500 jednostek w danym roku niż pacjentów stosujących pozostałe fiołki) o czym świadczą różne trendy liczebności populacji pacjentów stosujących w/w postacię preparatów toksyny botulinowej typu A (por. rozdział 2.5.2.1.).

Mając na uwadze powyższe, w ramach analizy uwzględniono średnie zużycie obserwowane w Polsce dla wnioskowanej technologii; w przypadku pozostałych preparatów toksyny botulinowej typu A dawkę określono na podstawie ilorazów konwersji. W ramach analizy podstawowej uwzględniono stosunek liczby jednostek Xeomin®, Botox® i Dysport® na poziomie 1:1:3, zgodnie z wynikami opublikowanych przeglądów [80], [81] (uwzględniono takie samo dawkowanie Xeomin® i Botox® oraz 3-krotnie wyższe dawkowanie Dysport®).

Pozostałe warianty dawkowania wnioskowanej technologii oraz warianty ilorazu konwersji dawek (szczegółowo opisane w analizie ekonomicznej [102]) uwzględniono w analizie wrażliwości.

## 2.2. PERSPEKTYWA ANALIZY

Analizowany problem decyzyjny dotyczy objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny dla produktu leczniczego Xeomin® w ramach części B „Leki stosowane w ramach programów lekowych” Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych [40] (por. rozdział 2.1.). Proponowany sposób refundacji nie uwzględnia współpłacenia świadczeniobiorcy [30].

Co więcej wyniki analizy ekonomicznej dla rozważanego problemu decyzyjnego [102] wskazują na nieistotny udział kosztu z perspektywy świadczeniobiorcy w całkowitych kosztach medycznych

---

\* W celu umożliwienia testowania innych scenariuszy dotyczących zużycia toksyny botulinowej typu A w modelu parametr ten rozłożono na dwa: liczbę fiołek na podanie oraz liczbę podań. Iloczyn tych parametrów odzwierciedla średnie zużycie leku wśród analizowanych pacjentów.

pacjentów z analizowanej populacji (nie zidentyfikowano kategorii kosztu różniącego porównywane technologie z perspektywy świadczeniobiorcy).

Mając na uwadze powyższe, zgodnie z Wytycznymi dla przeprowadzania ocen technologii medycznych, opublikowanymi przez AOTMiT [1], niniejsza analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych; Narodowego Funduszu Zdrowia [NFZ]).

### **2.3. HORYZONT CZASOWY ANALIZY**

W analizie wpływu na budżet dokonuje się oceny wpływu danej technologii medycznej na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej w czasie kilku lat następujących po podjęciu decyzji o finansowaniu ze środków publicznych nowej technologii, zazwyczaj do ustalenia się równowagi na rynku lub co najmniej w ciągu pierwszych 2 lat od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych [1].

Punkt początkowy niniejszej analizy obejmuje pierwszy rok, w którym będzie możliwe stosowanie refundowanego produktu leczniczego Xeomin® w ramach scenariusza nowego (przy założeniu pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia dotyczącej objęcia refundacją wnioskowanej technologii). Założono objęcie refundacją wnioskowanej technologii i pierwsze wykorzystanie wnioskowanej technologii wśród pacjentów z analizowanej populacji na początku 2020 roku. Założono, że pierwszy rok analizy będzie obejmował cały 2020 rok.

Ustalono, że ze względu na refundację wnioskowanej technologii w analizowanym wskazaniu w latach poprzednich moment stabilizacji analizowanego rynku powinien wystąpić szybko i na tej podstawie przyjęto, że będzie to okres pierwszych 2 lat obowiązywania pozytywnej decyzji refundacyjnej Ministra Zdrowia.

Zasadność przyjęcia okresu wynoszącego co najmniej 2 lata potwierdzają informacje w art. 11. ust. 3 pkt. 3 Ustawy o refundacji [30] świadczące, iż pozytywne rozpatrzenie wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny dla produktu Xeomin® stosowanego w analizowanym wskazaniu, będzie obowiązywać przez 2 lata od decyzji Ministra Zdrowia.

Za przyjęciem krótkiego horyzontu czasowego analizy wpływu na budżet przemawiają również aspekty dotyczące dostępności danych umożliwiających długi horyzont czasowy analizy. Ze względu na niską

liczebność populacji docelowej brakuje w pełni wiarygodnych danych pozwalających przeprowadzić modelowanie populacyjne w dłuższym horyzoncie czasowym.

W ramach analizy wpływu na budżet dotyczącej stosowania produktu leczniczego Xeomin® w analizowanym wskazaniu przeprowadzono symulację wysokości nakładów finansowych z jednorocznego budżetu płatnika publicznego. Przeprowadzono również ocenę konsekwencji finansowych dla kolejnych lat obserwacji w odniesieniu do porównywanych ze sobą możliwych scenariuszy („nowy scenariusz” vs „scenariusz istniejący”) w okresie 2 pierwszych lat obowiązywania pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia, przy corocznej ocenie wydatków z budżetu płatnika publicznego.

#### **2.4. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE I PUNKTY KOŃCOWE ANALIZY**

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii (*status quo*, „scenariusz istniejący”; brak finansowania ze środków publicznych stosowania wnioskowanej technologii w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz”).

W chwili obecnej, pacjent z analizowanej populacji ma możliwość stosowania pozostałych preparatów toksyny botulinowej typu A we wnioskowanym wskazaniu. W scenariuszu istniejącym założono brak stosowania wnioskowanej technologii wśród wszystkich pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu – uwzględniono stosowanie preparatów Botox® i Dysport® w miejsce preparatu Xeomin® [102].

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono w ujęciu wszystkich pacjentów, którzy mogliby stosować wnioskowaną technologię w danym roku w Polsce (por. rozdział 2.5.1.). Uwzględniono wszystkie koszty bezpośrednie medyczne w okresie podawania porównywanych preparatów.

Zgodnie z założeniami Analizy ekonomicznej [102], w opracowaniu nie uwzględniono możliwości wystąpienia różnicy między porównywanymi interwencjami w zakresie efektów zdrowotnych.

Zestawienie założeń porównywanych scenariuszy przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 2. Zestawienie założeń porównywanych scenariuszy.

	Scenariusz istniejący ( <i>status quo</i> )	Nowy scenariusz
<b>Opis ekstrapolacji</b>	Prognoza danych z lata 2016 – 2018 (okres refundacji Xeomin® we wnioskowanym wskazaniu), przy uwzględnieniu odsetka wykorzystania Xeomin® z roku 2018 – zamiast Xeomin® stosowanie Botox® lub Dysport®	Prognoza danych z lata 2016 – 2018 (okres refundacji Xeomin® we wnioskowanym wskazaniu), przy uwzględnieniu odsetka wykorzystania Xeomin® z roku 2018 – stosowanie Xeomin®
<b>Schematy leczenia</b>	Dysport®, Botox®	Dysport®, Botox®, Xeomin®
<b>Inne różnice</b>	Brak	

W ramach niniejszej analizy wpływu na system ochrony zdrowia przedstawiono:

- wielkość populacji, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 rozporządzenia [3] (por. rozdział 2.5.),
- ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, zgodnie z §6 ust. 4 rozporządzenia [3] (prognoza opisana jako „scenariusz istniejący”, *status quo*),
- ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, zgodnie z §6 ust. 5 rozporządzenia [3] (prognoza opisana jako „nowy scenariusz”),
- oszacowanie różnicy między w/w prognozami, zgodnie z §6 ust. 6 rozporządzenia [3],
- zgodnie z §6 ust. 7 rozporządzenia [3], przedstawiono również prognozy i różnice w ich wartościach dla dwóch skrajnych scenariuszy wielkości populacji docelowej (warianty opisane jako minimalny i maksymalny).

W ramach niniejszej analizy podjęto również próbę oszacowania aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje, zgodnie z §6 ust. 3 rozporządzenia [3].

## 2.5. CHARAKTERYSTYKA I LICZEBNOŚĆ ANALIZOWANEJ POPULACJI

### 2.5.1. CHARAKTERYSTYKA ANALIZOWANEJ POPULACJI

Zarejestrowane wskazania do stosowania ocenianego produktu leczniczego dotyczą objawowego leczenia:

- kurczu powiek, dystonii szyjnej z przewagą komponenty rotacyjnej (kurczowy kręć szyi);
- spastyczności kończyny górnej u dorosłych [57].

W chwili obecnej wnioskowana technologia finansowana jest ze środków publicznych we wskazaniu pierwszym (program B.28.) [37]. Niniejszy problem decyzyjny dotyczy wyłącznie wskazania drugiego, w którym wnioskowana technologia była refundowana do listopada 2018 roku (program B.57.).

W opracowaniu uwzględniono populację otwartą pacjentów – obserwacji poddawano zagregowaną grupę pacjentów stosujących toksyny botulinowe typu A w danym roku należącym do horyzontu czasowego analizy.

Nie poddawano obserwacji każdego pacjenta osobno, gdyż brakuje wiarygodnych informacji umożliwiających przeprowadzenie tego typu analizy.

### 2.5.2. LICZEBNOŚĆ POPULACJI

Pacjenci, u których możliwe byłoby zastosowanie wnioskowanej technologii zgodnie z zarejestrowanymi wskazaniami włączani są aktualnie do programu lekowego:

- B.28. „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G 24.3, G 24.4, G 24.5, G 24.8, G 51.3)”, w którym możliwe jest stosowanie wszystkich preparatów toksyny botulinowej typu A (Dysport®, Botox®, Xeomin®);
- B.57. „Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69)”, w którym możliwe jest aktualnie stosowanie preparatów toksyny botulinowej typu A (Dysport®, Botox®) z wyjątkiem wnioskowanej technologii [37].

Mając na uwadze powyższe, przeprowadzono ocenę liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy uwzględnieniu danych NFZ dotyczących liczby chorych leczonych w w/w programach w latach 2016 – 2018 [62]-[64]. Nie uwzględniono danych sprzed 2016 roku, ze względu na odmienny sposób raportowania (dane z podziałem na jednostki struktury świadczeniodawcy realizujące podanie leku w miejsce danych, z podziałem na stosowany lek), który znacznie zawyżyć może liczebność populacji (więcej pacjentów może stosować dany lek w różnych



jednostkach niż pacjentów stosujących kilka leków w danym roku) oraz fakt, iż dane te mogłyby nie odzwierciedlać stanu równowagi na analizowanym rynku sprzedaży preparatów toksyny botulinowej typu A (np. zbyt krótki okres od objęcia refundacją w danym wskazaniu).

Odsetek wykorzystania wnioskowanej technologii wśród preparatów zawierających 100 jednostek w fiolece (Xeomin® i Botox®; NFZ raportują te preparaty łącznie) określono na podstawie: liczby wykorzystanych fiolek w ramach programów lekowych dla toksyny botulinowej typu A [62]-[64] i rocznej liczbie sprzedanych opakowań poszczególnych preparatów [42], [43], [49], przy uwzględnieniu korekty wynikającej z różnic we wskazaniach do stosowania preparatów Xeomin® (w latach 2016 – 2018 stosowany w programach: B.28. i B.57.) i Botox® (w latach 2016 – 2018 stosowany w programach: B.28., B.30., B.57., B.73. i B.83.).

Wykorzystana struktura rynku sprzedaży fiolek zawierających 100 jednostek toksyny botulinowej typu A (Xeomin® i Botox®) w latach 2016 – 2018 została przedstawiona w tabeli poniżej.

Szczegółowe informacje zamieszczono w arkuszu „Obliczenia” modelu dołączonego do opracowania.

**Tabela 3. Odsetek sprzedaży preparatu Xeomin® wśród preparatów zawierających 100 jednostek toksyny botulinowej typu A.**

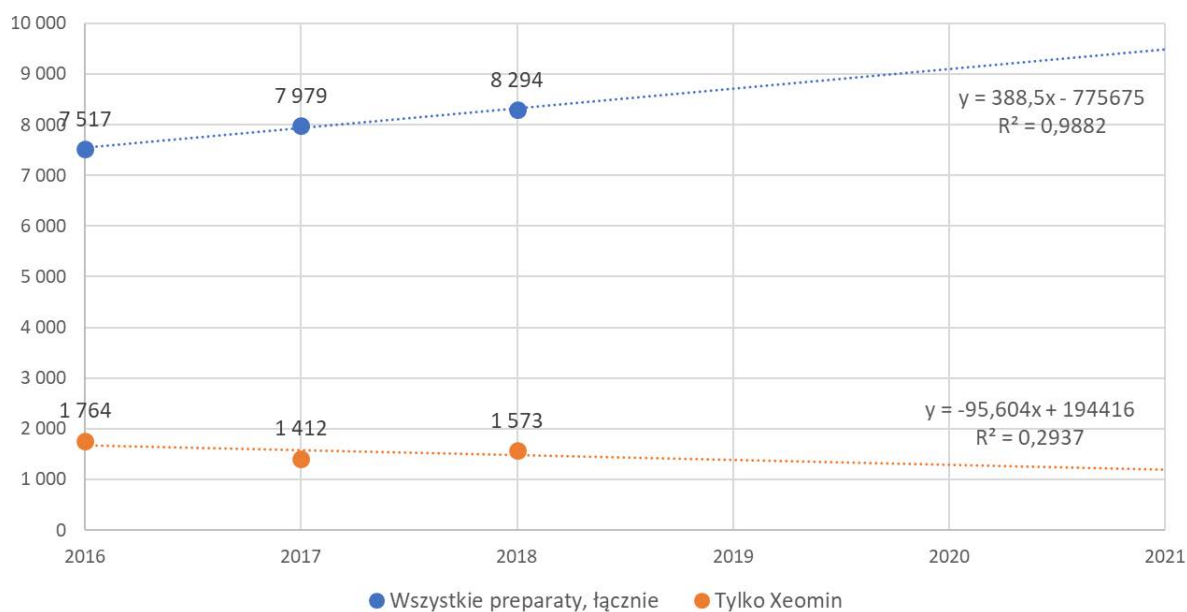
	2016	2017	2018
<b>Dane z komunikatów DGL NFZ [42], [43], [49]</b>			
<b>Botox®</b>	74,5%	81,4%	81,5%
<b>Xeomin®</b>	25,5%	18,6%	18,5%
<b>Dane skorygowane - tylko programy B.28. i B.57. [42], [43], [49], [62]-[64]*</b>			
<b>Botox®</b>	66,8%	75,2%	74,5%
<b>Xeomin®</b>	<b>33,2%</b>	<b>24,8%</b>	<b>25,5%</b>

\* z wykluczeniem fiolek Botox® stosowanych w innych programach lekowych.

Przedstawione powyżej dane zostały wykorzystane do oceny liczby pacjentów stosujących preparat Xeomin® w ramach programu B.28. oraz liczby pacjentów, którzy będą stosować preparat Xeomin® w ramach programu B.57., w przypadku objęcia refundacją.

### **2.5.2.1. LICZEBNOŚĆ POPULACJI, O KTÓREJ MOWA W § 6 UST. 1 PKT. 1 ROZPORZĄDZENIA [3]**

Liczebność populacji pacjentów wymagających stosowania toksyny botulinowej typu A w leczeniu objawowym kurczu powiek, dystonii szyjnej z przewagą komponenty rotacyjnej (kurczowego kręczu szyi), czyli wskazaniu aktualnie refundowanym, określono w ramach ekstrapolacji dostępnych danych NFZ za lata 2016 – 2018 (wykres poniżej).



**Rysunek 1. Liczba pacjentów stosujących toksynę botulinową typu A w ramach programu B.28. Liczby serii „Tylko Xeomin” określone na podstawie liczebności chorych stosujących fiołki 100 jednostek w latach 2016 – 2018 oraz określonej struktury rynku sprzedaży tych fiołek (por. tabela 3.).**

Ustalono, że liczebność populacji pacjentów, która będzie stosować wnioskowaną technologię w leczeniu objawowym kurczu powiek, dystonii szyjnej z przewagą komponenty rotacyjnej (kurczowego kręczu szyi) wyniesie: 9 096 w 1. roku oraz 9 484 w 2. roku analizy. Zgodnie z dostępnymi danymi liczba pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w tym wskazaniu wyniesie 1 296 i 1 200 pacjentów w odpowiednio 1. i 2. roku analizy.

Przedstawione liczebności nie mają wpływu na wyniki niniejszej analizy, gdyż dotyczą aktualnie refundowanego wskazania.

Liczebność populacji pacjentów wymagających stosowania toksyny botulinowej typu A w leczeniu objawowym spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu (wnioskowane wskazanie) została określona w analogiczny sposób. Niemniej jednak, ze względu na odrębny kierunek prognoz wykorzystano dwie prognozy: jedną dla fiołek zawierających 100 jednostek (Xeomin® i Botox®) oraz drugą dla fiołek Dysport® (300 i 500 jednostek).

Przy ocenie liczebności populacji pacjentów stosujących Dysport® konserwatywnie założono, że u każdego pacjenta stosowana jest tylko jedna prezentacja leku (tj. albo 300 jednostek albo 500 jednostek). Alternatywne podejście zwiększałoby liczbę pacjentów stosujących ten lek (zmniejszało udział tego leku w rynku przejmowanym przez Xeomin® - zmniejszałoby oszczędności w wariacie z RSS) oraz zwiększałoby średnie zużycie leku Dysport® na pacjenta (zwiększałoby wykorzystanie tego

leku w ramach wariantu ilorazu konwersji dawek opartego na polskich danych – scenariusze: DSA 30, DSA 31, DSA 32 analizy wrażliwości).

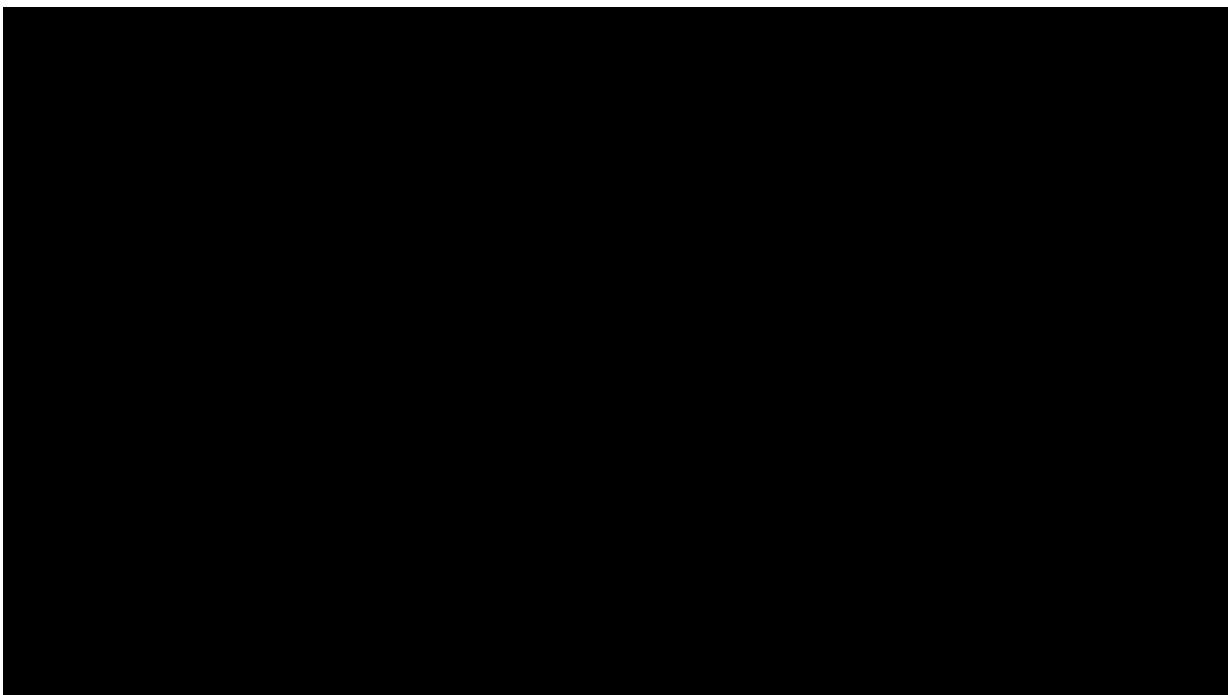
Wyniki prognoz z wykorzystaniem funkcji wykładniczej (model tylko nieznacznie lepszy od funkcji prostoliniowej, ale zabezpieczający przed wystąpieniem ujemnych liczebności populacji; szczegółowe dane w arkuszu „Obliczenia” modelu) uwzględniono w ramach wariantu najbardziej prawdopodobnego.

Ze względu na charakter danych (brak jednostajnego trendu; tylko 3 punkty czasowe) przedziały predykcji dla w/w modeli były bardzo szerokie (od kilku pacjentów do prawie 102 tys. rocznie) i przekraczały racjonalny zakres liczebności populacji docelowej (znacznie niższe od liczebności populacji z poprzednich lat, albo przekraczające tę liczebność 100-krotnie).

Z tego powodu w ramach wariantów skrajnych uwzględniono opcjonalne warianty prognozowania liczby chorych stosujących fiolki zawierające 100 jednostek toksyny botulinowej typu A (Xeomin® i Botox®):

- w ramach wariantu minimalnego uwzględniono stałą liczbę chorych w horyzoncie analizy (na poziomie najniższej liczebności tej populacji w latach 2016 – 2018, tj. 811 pacjentów);
- w ramach wariantu maksymalnego uwzględniono prognozę liczebności określoną na podstawie danych z lat 2017 – 2018 (okres, w którym liczebności tej populacji rosły).

Wyniki przeprowadzonych prognoz przedstawiono poniżej.



Na podstawie przeprowadzonych prognoz ustalono, że w horyzoncie analizy liczba pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu wymagająca podawania toksyny botulinowej typu A wyniesie:



Wśród w/w grupy chorych liczba pacjentów stosujących preparaty zawierające 100 jednostek toksyny botulinowej typu A wyniesie:

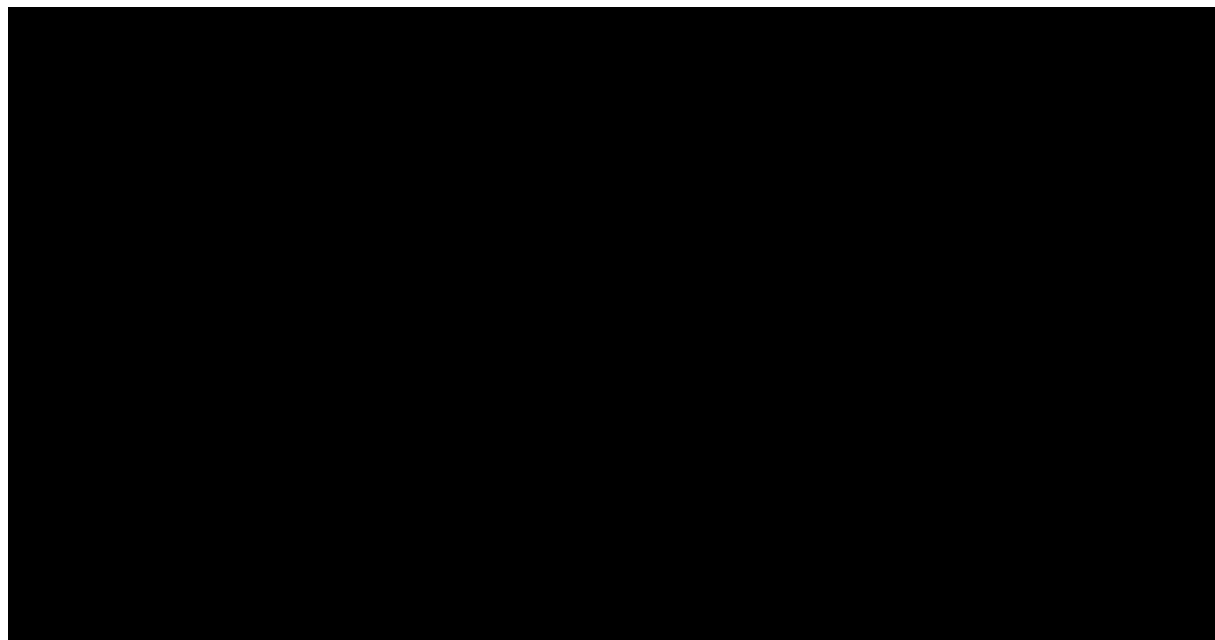


#### **2.5.2.2. LICZEBNOŚĆ POPULACJI, O KTÓREJ MOWA W § 6 UST. 1 PKT. 2 ROZPORZĄDZENIA [3]**


Liczebność populacji pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w przypadku jej refundacji została określona na podstawie liczebności wszystkich pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu, wymagających podawania toksyny botulinowej typu A pod postacią fiołki zawierającej 100 jednostek (poprzedni rozdział) oraz odsetka wykorzystania wnioskowanej technologii wśród preparatów toksyny botulinowej typu A pod postacią fiołki zawierającej 100 jednostek (tabela 3.).

W ramach wariantu najbardziej prawdopodobnego uwzględniono dane z 2018 roku (25,5%), gdyż w latach 2017 – 2018 odsetek wykorzystania wnioskowanej technologii nie uległ istotnym zmianom; w wariacie minimalnym uwzględniono dane z 2017 roku (24,8%), a w wariacie maksymalnym – dane z 2016 roku (33,2%).

Uwzględnione dane przedstawiono poniżej.



Na uwagę zasługują, że przedstawiona struktura rynku sprzedaży z wysokim prawdopodobieństwem odzwierciedla ewentualne różnice w zakresie wskazań do stosowania analizowanych preparatów toksyny botulinowej typu A. Stanowi więc jedyne i najbardziej wiarygodne źródło informacji dotyczące warunków polskich. Z tego powodu nie testowano opcjonalnych wariantów w zakresie tego parametru.

Na podstawie przedstawionych informacji ustalono, że liczba chorych na spastyczność kończyny górnej po udarze mózgu leczona lekiem Xeomin® w przypadku jego refundacji wyniesie: 



### 2.5.2.3. PODSUMOWANIE INFORMACJI NA TEMAT WIELKOŚCI POPULACJI PACJENTÓW

Podsumowanie informacji na temat liczebności populacji docelowej, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 4. Podsumowanie wielkości populacji pacjentów, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej – dane typu zapadalność. W nawiasach podano wyniki skrajnych scenariuszy: minimalnego i maksymalnego; wartości zaokrąglone.

Populacja wg [3]	Nr programu (wskazanie)	Lata dostępnych danych			Rok 0	Rok 1	Rok 2
		2016	2017	2018	2019	2020	2021
art. 6 ust. 1 pkt. 1 lit. a	B.28. (kurcz powiek, dystonia szyjna z przewagą komponenty rotacyjnej)	■	■	■	■	■	■
	B.57. (spastyczność kończyny górnej)	■	■	■	■	■	■
art. 6 ust. 1 pkt. 1 lit. b	B.57. (spastyczność kończyny górnej)	■	■	■	■	■	■
art. 6 ust. 1 pkt. lit. c	B.28. (kurcz powiek, dystonia szyjna z przewagą komponenty rotacyjnej)	■	■	■	■	■	■
	B.57. (spastyczność kończyny górnej)	■	■	■	■	■	■
art. 6 ust. 1 pkt 2	B.57. (spastyczność kończyny górnej)	■	■	■	■	■	■

\* jeżeli Xeomin® byłyby refundowany w 2019 roku liczba pacjentów stosujących ten lek w programie B.57. wyniosłaby 256 (201 - 389).

### 2.6. ANALIZA WPŁYWU NA SKUTKI ZDROWOTNE

Nie przeprowadzono szczegółowej analizy wpływu na skutki zdrowotne.

### 2.7. KOSZTY UWZGLĘDNIONE W OPRACOWANIU

W ramach niniejszego opracowania uwzględniono zasoby zużywane w trakcie stosowania toksyny botulinowej typu A wśród pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu w warunkach polskich.

Zasoby uwzględnione w analizie związane są przede wszystkim z kosztami z perspektywy płatnika publicznego. Uwzględniono wyłącznie koszty bezpośrednie medyczne.

---

Dane kosztowe zebrano w maju 2019 roku.

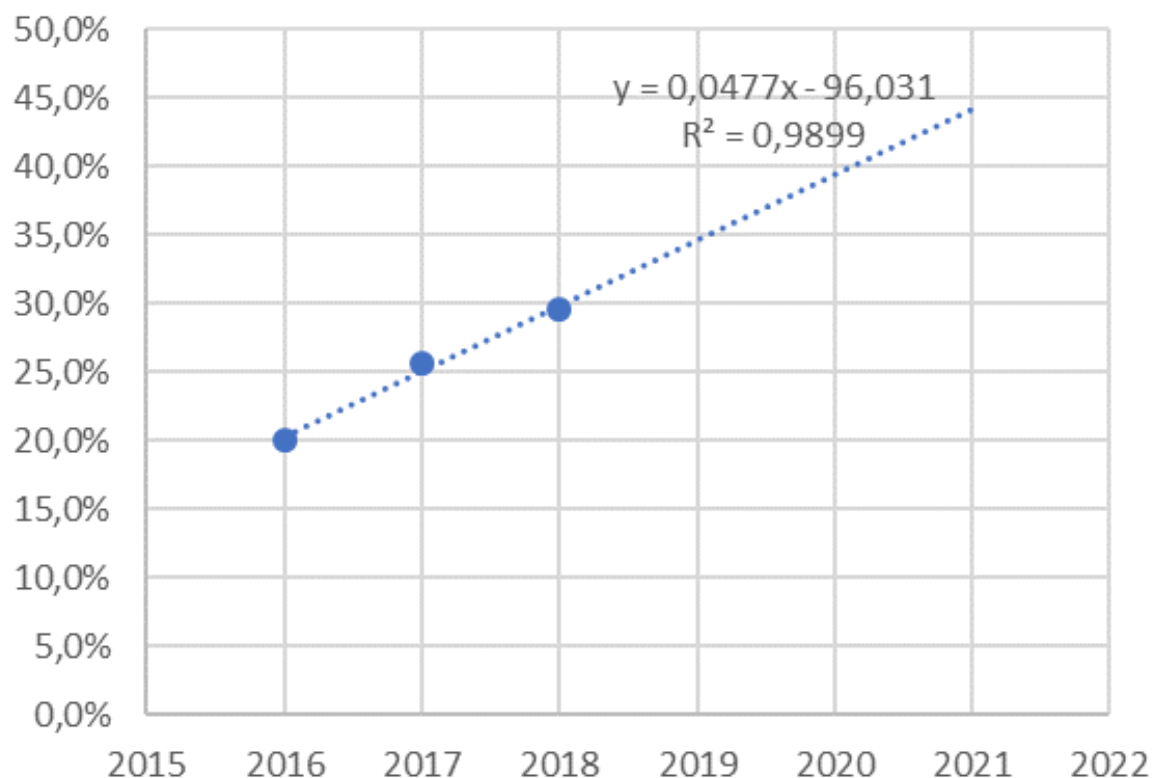
Uwzględniono sugerowaną cenę zbytu netto wnioskowanej technologii na poziomie [REDACTED] [REDACTED] zgodnie z aktualnie obowiązującymi cenami wnioskowanej technologii [37]. W opracowaniu uwzględniono proponowane porozumienie podziału ryzyka (por. rozdział 2.1.), polegające [REDACTED] [REDACTED]

W opracowaniu uwzględniono analogiczne założenia i dane wejściowe dla kosztów jak w przypadku Analizy ekonomicznej [102].

W ramach wariantu bez RSS uwzględniono oficjalne ceny i limity finansowania aktualnie refundowanych preparatów toksyny botulinowej typu A; w wariantcie z RSS dla wnioskowanej technologii uwzględniono koszt aktualnie refundowanych preparatów toksyny botulinowej typu A określony na podstawie komunikatu DGL NFZ za 2018 rok [49].

Ponieważ koszt jednostki preparatu Dysport® różni się nieznacznie między prezentacjami zawierającymi 300 i 500 jednostek w fiolece, w ramach analizy uwzględniono dodatkowo odsetek wykorzystania fiolek 300 jednostek w całym rynku sprzedaży preparatów Dysport®.

W ramach analizy podstawowej uwzględniono dane dotyczące chorych leczonych w programie B.57. w 2018 roku (29,6%) [64]; w analizie wrażliwości uwzględniono dane z lat 2016 – 2017 oraz dane ekstrapolowane do 2021 roku (rysunek poniżej), tj. w zakresie od 20,1% do 39,4%.



Rysunek 4. Ekstrapolacja wykorzystania fiolek 300 jednostek wśród wszystkich fiolek produktu Dysport®.

W opracowaniu uwzględniono koszty realizacji programu lekowego wśród pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu – koszt świadczeń diagnostycznych na poziomie 324,48 PLN (roczny koszt przypisany każdemu pacjentowi) [72] oraz koszt podawania toksyny botulinowej typu A na poziomie kosztu jednego dnia pobytu w szpitalu, w celu podania leku w programie [70]. W ramach analizy podstawowej przyjęto, że każdy pacjent, niezależnie od stosowanego leku i okresu leczenia w programie generować będzie koszt dla NFZ w odniesieniu do 3 dni pobytu w szpitalu w celu podania leku w programie [102].

Opierając się na Wytycznych przeprowadzania ocen technologii medycznych [1], w ramach niniejszej analizy wpływu na budżet nie uwzględniono dyskontowania.

## 2.8. METODY ESTYMACJI WYNIKÓW ANALIZY W UJĘCIU POPULACYJNYM

Zastosowana w niniejszej analizie metoda estymacji wyników w ujęciu populacyjnym uwzględnia obserwację rocznej liczby pacjentów, która pozwala określić sumaryczne zużycie danych zasobów lub sumaryczne koszty w ujęciu populacyjnym.



W uproszczeniu, iloczyn liczby pacjentów w danym roku oraz rocznego zużycia danego zasobu medycznego i jego kosztu jednostkowego pozwala określić całkowite wydatki wśród pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku.

## 2.9. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI I WYKAZ PARAMETRÓW ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

W ramach analizy podstawowej uwzględniono trzy warianty:

- „najbardziej prawdopodobny” (lub „prawdopodobny”), uwzględniający realistyczne wartości parametrów dotyczących wielkości analizowanej populacji i wpływu refundacji wnioskowanej technologii na budżet płatnika publicznego,
- „minimalny”, uwzględniający skrajne założenia i wartości z zakresu niepewności parametrów dotyczących wielkości analizowanej populacji, generujące minimalne wydatki z budżetu,
- „maksymalny”, uwzględniający skrajne założenia i wartości zakresu niepewności parametrów dotyczących wielkości analizowanej populacji, generujące maksymalne wydatki z budżetu.

Parametry poszczególnych wariantów zostały przedstawione w tabeli poniżej (szczegóły dotyczące parametrów oceny wielkości populacji przedstawiono w rozdziale 2.5.).

Tabela 5. Charakterystyka wariantów wielkości populacji docelowej uwzględnionych w ramach analizy podstawowej.

	Wariant prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny
Liczba pacjentów stosujących fiołkę 100 jednostek toksyny botulinowej w programie B.57. – rok 1	■	■	■
Liczba pacjentów stosujących fiołkę 100 jednostek toksyny botulinowej w programie B.57. – rok 2	■	■	■
Odsetek wykorzystania wnioskowanej technologii w przypadku jej refundacji	■	■	■

Wspólne parametry wszystkich wariantów przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 6. Wykaz wszystkich parametrów analizy wpływu na budżet – parametry wspólne wariantów oceny wielkości populacji lub parametry zależne od liczebności populacji.

Parametr	Wartość
Liczba pacjentów stosujących fiołki 300 lub 500 jednostek toksyny botulinowej w programie B.57. – rok 1	■
Liczba pacjentów stosujących fiołki 300 lub 500 jednostek toksyny botulinowej w programie B.57. – rok 2	■

Parametr	Wartość												
<b>Kształt przyjmowanego rynku przez wnioskowaną technologię</b>	Zgodnie z udziałami w rynku zastępowanych leków												
<b>Zużycie fiolek wnioskowanej technologii na rok, na pacjenta</b>	4,03 (1,34 fiolek/podanie x 3 podania)												
<b>Iloraz konwersji dawek, Xeomin® : Botox® : Dysport® (w jednostkach)</b>	1 : 1 : 3												
<b>Koszt wnioskowanej technologii, za fiolek 100 jednostek</b>	Wariant bez RSS: cena zbytu netto równa [REDACTED] Wariant z RSS: maksymalny koszt [REDACTED]												
<b>Koszt jednostkowy aktualnie refundowanych preparatów</b>	<table border="1"> <thead> <tr> <th></th> <th>Koszt oficjalny (wariant bez RSS)</th> <th>Koszt w 2018 (Wariant z RSS)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Botox® 100 j.</td> <td>6,4300 PLN</td> <td>5,5058 PLN</td> </tr> <tr> <td>Dysport® 300 j.</td> <td>2,3678 PLN</td> <td>1,2689 PLN</td> </tr> <tr> <td>Dysport® 500 j.</td> <td>2,3678 PLN</td> <td>1,2794 PLN</td> </tr> </tbody> </table>		Koszt oficjalny (wariant bez RSS)	Koszt w 2018 (Wariant z RSS)	Botox® 100 j.	6,4300 PLN	5,5058 PLN	Dysport® 300 j.	2,3678 PLN	1,2689 PLN	Dysport® 500 j.	2,3678 PLN	1,2794 PLN
	Koszt oficjalny (wariant bez RSS)	Koszt w 2018 (Wariant z RSS)											
Botox® 100 j.	6,4300 PLN	5,5058 PLN											
Dysport® 300 j.	2,3678 PLN	1,2689 PLN											
Dysport® 500 j.	2,3678 PLN	1,2794 PLN											
<b>Odsetek wykorzystania fiolek 300 jednostek wśród wszystkich fiolek leku Dysport®</b>	29,6%												
<b>Koszt realizacji programu lekowego</b>	koszt świadczeń diagnostycznych: 324,48 PLN (roczny koszt) koszt podawania toksyny botulinowej typu A: [REDACTED]												

W ramach analizy wrażliwości rozpatrywano scenariusze opisane w tabeli poniżej. Każdy scenariusz został przeprowadzony w ramach trzech wariantów: „prawdopodobnego”, „minimalnego” i „maksymalnego”.

Tabela 7. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.

Nr	Scenariusz / wartość parametru	źródło danych	Wariant liczebności populacji	
DSA 00	Analiza podstawowa		Prawdopodobny	
DSA 01			Minimalny	
DSA 02			Maksymalny	
DSA 03	Charakter przyjmowanego rynku	Tylko Botox® przejmuje (główny komparator [102])	Prawdopodobny	
DSA 04			Minimalny	
DSA 05			Maksymalny	
DSA 06		Botox® i Dysport® przejmuje, zgodnie z udziałem w rynku	Prawdopodobny	
DSA 07			Minimalny	
DSA 08			Maksymalny	
DSA 09	Iloraz konwersji dawek preparatów toksyny botulinowej	Na podstawie poprzedniej analizy [47] (1 fiołka = 1 fiołka)	Prawdopodobny	
DSA 10			Minimalny	
DSA 11			Maksymalny	
DSA 12		Równoważne dawkowanie w analizie dla Dysport®, SMC, 2013 [101] (sprzeczne z [95])	Prawdopodobny	
DSA 13			Minimalny	
DSA 14			Maksymalny	
DSA 15		Średnie dawki we Francji [84]		Prawdopodobny
DSA 16				Minimalny
DSA 17				Maksymalny
DSA 18		Średnie dawki we Francji [88]		Prawdopodobny
DSA 19				Minimalny
DSA 20				Maksymalny
DSA 21		Mediana dawek we Francji [88]		Prawdopodobny
DSA 22				Minimalny
DSA 23				Maksymalny
DSA 24		Średnie dawki w USA [79]		Prawdopodobny
DSA 25				Minimalny
DSA 26				Maksymalny

Nr	Scenariusz / wartość parametru źródło danych	Wariant liczebności populacji
DSA 27		Prawdopodobny
DSA 28		Minimalny
DSA 29		Maksymalny
DSA 30		Prawdopodobny
DSA 31		Minimalny
DSA 32		Maksymalny
DSA 33		Prawdopodobny
DSA 34		Minimalny
DSA 35		Maksymalny
DSA 36		Prawdopodobny
DSA 37		Minimalny
DSA 38		Maksymalny
DSA 39		Prawdopodobny
DSA 40		Minimalny
DSA 41		Maksymalny
DSA 42	Zużycie wnioskowanej technologii lekowej	Prawdopodobny
DSA 43		Minimalny
DSA 44		Maksymalny
DSA 45		Prawdopodobny
DSA 46		Minimalny
DSA 47		Maksymalny
DSA 48		Prawdopodobny
DSA 49		Minimalny
DSA 50		Maksymalny
DSA 50		Ceny Dysport® i Botox® na podstawie komunikatu DGL NFZ również w wariantcie bez RSS

### 3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

#### 3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO

Obecnie produkt leczniczy Xeomin® nie jest finansowany ze środków publicznych w analizowanym wskazaniu i tym samym składowa kosztów opieki nad pacjentami w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, uwzględniająca podawanie analizowanego produktu, nie występuje.

Wnioskowana technologia finansowana jest ze środków publicznych ramach programu lekowego B.28. Zgodnie z komunikatami DGL NFZ, w okresie styczeń – luty 2019 roku zrefundowano około 504 opakowań wnioskowanej technologii ([www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)). Kwota refundacji ceny wnioskowanej technologii wyniosła w tym okresie 198 743,11 PLN.

Nie są dostępne inne informacje na temat aktualnych wydatków wśród chorych, którzy będą mogli stosować wnioskowaną technologię w przypadku jej refundacji. Wyniki przedstawione poniżej uwzględniają częściowo prognozowane dane dla 2019 roku.

**Tabela 8. Aktualne wydatki z budżetu na leczenie toksyną botulinową typu A chorych ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu.**

Rok	Całkowite wydatki (B.57), estymowane		w tym koszt Xeomin® (B.57.)		Koszt Xeomin® (B.28. i B.57.) [47]
	z RSS	bez RSS	z RSS	bez RSS	z RSS
2018 (Xeomin® refundowany)	████████	████████	████████	████████	████████
2019 (Xeomin® nier refundowany, ekstrapolacja danych)	████████	████████	██	██	████████

### 3.2. WARIANT PRAWDOPODOBNY, MINIMALNY I MAKSYMALNY

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono poniżej.

Tabela 9. Wyniki analizy wpływu na budżet.

		Scenariusz istniejący		Nowy scenariusz		Różnica (nowy - istniejący)	
		Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2
<b>Wariant prawdopodobny</b>							
[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]

Wyniki przeprowadzonej analizy wpływu na budżet wskazują, że podjęcie pozytywnej decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Xeomin® w leczeniu poudarowej spastyczności kończyny górnej będzie związane z niewielkim wzrostem wydatków z budżetu płatnika publicznego przeznaczanego na finansowanie świadczeń gwarantowanych wśród pacjentów z analizowanej populacji, ale wyłącznie w przypadku pominięcia proponowanego porozumienia podziału ryzyka (RSS). **W wariancie uwzględniającym RSS dla wnioskowanej technologii oraz ceny refundowanych preparatów toksyny botulinowej na podstawie komunikatu DGL NFZ z 2018 roku [49] wykazano, że finansowanie wnioskowanej technologii generować będzie oszczędności dla płatnika publicznego.**

W ramach analizy wpływu na budżet ustalono, że wydatki z budżetu płatnika publicznego przeznaczone na refundację ceny produktu leczniczego Xeomin® stosowanego w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu wyniosą (tylko koszt leku):

- przy pominięciu proponowanego porozumienia podziału ryzyka (RSS):



- przy uwzględnieniu RSS:



Wyniki analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie ze środków publicznych wnioskowanej technologii w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu związane będzie z inkrementalną zmianą netto całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego na poziomie (ujemne wartości określają **oszczędności** dla płatnika publicznego):

- przy pominięciu RSS:



- przy uwzględnieniu RSS:



### 3.3. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI

Wyniki analizy wrażliwości dla analizy wpływu na budżet przedstawiono w tabeli poniżej.

Szczegółowe wyniki znajdują się w arkuszu „BIA SA” modelu dołączonego do opracowania.



Ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Xeomin® (toksyna botulinowej typu A) w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu w ramach programu lekowego.



Nr	Liczba pacjentów w B.57.		Liczba pacjentów leczona Xeomin®		Kwota refundacji Xeomin®, bez RSS		Kwota refundacji Xeomin®, z RSS		Różnica w wydatkach, bez RSS		Różnica w wydatkach, z RSS	
	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2





Wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości potwierdziły przedstawione wnioski i założenia niniejszej analizy.

**Niezależnie od scenariusza analizy wrażliwości, stosowanie wnioskowanej technologii, przy uwzględnieniu porozumienia podziału ryzyka generowało oszczędności dla płatnika publicznego (ceny pozostałych preparatów toksyny botulinowej typu A określono na podstawie komunikatów DGL NFZ). Maksymalne dodatkowe nakłady finansowe w wariancie bez RSS nie przekraczały [REDACTED]**

Nie zidentyfikowano przesłanek do zmiany wniosków z analizy podstawowej.

#### **4. ANALIZA ZUŻYTYCH ZASOBÓW**

Poniżej przedstawiono informacje na temat estymowanego zużycia podstawowych zasobów medycznych w horyzoncie analizy. Ustalono, że wpływ na zmiany inkrementalne netto wydatków z budżetu płatnika publicznego ma liczba zrefundowanych jednostek toksyny botulinowej.

Tabela 11. Liczba refundowanych opakowań wnioskowanej technologii.

	Scenariusz istniejący		Nowy scenariusz		Różnica (nowy - istniejący)	
	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2
<b>Wariant prawdopodobny</b>						
[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]

## 5. ANALIZA WPŁYWU NA EFEKTY ZDROWOTNE

Nie przeprowadzono analizy wpływu na efekty zdrowotne.

## 6. ANALIZA WPŁYWU NA ORGANIZACJĘ UDZIELANIA ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH

Wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie ocenianej technologii ze środków publicznych będzie się wiązać z niewielkimi, dodatkowymi nakładami finansowymi z perspektywy płatnika publicznego (dodatkowe nakłady finansowe nie przekraczają [REDACTED] budżetu na refundację), ale wyłącznie w wariantcie bez RSS. W przypadku uwzględnienia proponowanego porozumienia podziału ryzyka refundacji wnioskowanej technologii towarzyszyć będą oszczędności.

Stosowanie produktu leczniczego Xeomin® w analizowanym wskazaniu nie nakłada szczególnych wymogów na pacjenta czy świadczeniodawcę. Leczenie pacjentów z analizowanej populacji nie wymaga dodatkowego wyposażenia placówek medycznych (sprzęt, personel i inne). Ewentualne wymagania związane z analizowaną technologią medyczną są już spełnione przez placówki medyczne w Polsce obejmujące opieką medyczną pacjentów z analizowanej populacji.

Oceniana technologia obejmuje stosowanie produktu Xeomin® – uważa się, że decyzja o finansowaniu ze środków publicznych ocenianej technologii nie będzie wiązała się z dodatkowymi nakładami finansowymi ze strony Narodowego Funduszu Zdrowia z tytułu finansowania dodatkowych wymagań związanych z tą technologią medyczną (jak transport pacjenta do wysoko wyspecjalizowanego ośrodka medycznego, na wizyty czy badania związane z podawaniem ocenianego preparatu, finansowania zakupu dodatkowego sprzętu specjalistycznego, szkoleń pracowników służby zdrowia, itp.).

## 7. ASPEKTY ETYCZNE I SPOŁECZNE

W chwili obecnej, pacjent z analizowanej populacji nie ma możliwości stosowania wnioskowanej technologii; może jednak stosować pozostałe preparaty toksyny botulinowej typu A.

Refundacja ceny wnioskowanej technologii zapewni możliwość stosowania dodatkowej opcji terapeutycznej wśród pacjentów z analizowanej populacji.

Wykazano, że objęcie refundacją wnioskowanej technologii nie będzie wymagała dodatkowych nakładów finansowych z perspektywy płatnika publicznego w przypadku zaakceptowania sugerowanego sposobu refundacji.

Dodatkowe efekty kliniczne po udostępnieniu pacjentom wnioskowanej technologii mogą przełożyć się na istotny wzrost poziomu satysfakcji pacjentów z analizowanej populacji.

Nie znaleziono aspektów ingerujących w prawo pacjenta czy w szeroko rozumiane prawa człowieka.

Finansowanie stosowania wnioskowanej technologii w analizowanym wskazaniu na rozważanych w opracowaniu zasadach spowoduje, że:

- żadne z grup pacjentów nie będą faworyzowane – korzyści dotyczą całej populacji pacjentów z analizowanym rozpoznaniem;
- niekwestionowany będzie równy dostęp do świadczenia wśród osób z analizowanej populacji.

Dostęp do ocenianej technologii medycznej będzie równy wśród osób, u których jest ona zalecana.

Pozytywna decyzja refundacyjna nie będzie powodować istotnych problemów społecznych.

Pozytywna decyzja o finansowaniu ocenianej technologii lekowej:

- zwiększy poziom satysfakcji pacjentów z analizowanej populacji z otrzymanej opieki medycznej ze względu na udostępnienie chorym skutecznej opcji terapeutycznej;
- nie grozi nieakceptowaniem postępowania pacjentów z analizowanej populacji;
- nie będzie powodować lub wpływać na stygmatyzację;
- nie będzie wywoływać lęku lub dylematów moralnych wśród pacjentów z analizowanej populacji, ich opiekunów oraz lekarzy prowadzących terapię;
- nie będzie stwarzać problemów społecznych dotyczących płci lub rodziny.

## **8. OGRANICZENIA ANALIZY**

Ograniczeniem związanym z oceną liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku jest zarówno charakter uwzględnionych źródeł informacji jak i poczynione założenia w odniesieniu do oceny liczebności analizowanej populacji pacjentów. Brakuje w pełni wiarygodnych informacji na temat liczebności populacji docelowej. Dostępne dane, pomimo tego, że bezpośrednio dotyczą pacjentów z Polski w stanie klinicznym wskazanym we wniosku nie są dokładne (tylko

liczebności całkowite). Brak dokładnej struktury tej populacji uniemożliwia bardziej precyzyjne prognozowanie jej liczebności w kolejnych latach.

## 9. DYSKUSJA

Przedmiotem opracowania była ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego po podjęciu decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Xeomin® w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu.

W ramach analizy wykorzystano opublikowane źródła informacji.

Szczegóły dotyczące ograniczeń uwzględnionych w opracowaniu źródeł informacji przedstawiono w rozdziałach: 2., 3. i 5. Analizy ekonomicznej [102] oraz w rozdziale 2. niniejszej analizy wpływu na budżet.

W chwili obecnej, stosowanie produktu leczniczy Xeomin® w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu nie jest finansowane ze środków publicznych.

**Finansowaniu produktu leczniczego Xeomin® na sugerowanych zasadach (z RSS) towarzyszyć będą oszczędności dla płatnika publicznego.**

Ewentualny wzrost wydatków określony w przypadku pominięcia RSS (do [REDACTED] rocznie) stanowi tylko niewielki ułamek całkowitego budżetu płatnika publicznego przeznaczonego na refundację leków (mniej niż [REDACTED]).

Refundacja ceny wnioskowanej technologii w analizowanym wskazaniu zapewni możliwość stosowania dodatkowej opcji terapeutycznej zalecanej dla pacjentów z analizowanej populacji.

## 10. WNIOSKI KOŃCOWE

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

- [REDACTED]

[REDACTED]

Wyniki analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie ze środków publicznych wnioskowanej technologii w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu związane będzie z inkrementalną zmianą netto całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego na poziomie (ujemne wartości określają oszczędności dla płatnika publicznego):

- przy pominięciu RSS:

[REDACTED]

- przy uwzględnieniu RSS:

[REDACTED]

Analiza wrażliwości potwierdziła wnioski z analizy podstawowej. Niezależnie od scenariusza analizy wrażliwości, stosowanie wnioskowanej technologii przy uwzględnieniu porozumienia podziału ryzyka generowało oszczędności dla płatnika publicznego (ceny pozostałych preparatów toksyny botulinowej typu A określono na podstawie komunikatów DGL NFZ). [REDACTED]

## 11. OCENA ZAPOTRZEBOWANIA NA ANALIZĘ RACJONALIZACYJNĄ

Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji [30], uzasadnienie wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku zawiera analizę racjonalizacyjną jedynie w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

W analizie wpływu na budżet ustalono, że niezależnie od podejścia do rozważanego problemu decyzyjnego, stosowanie wnioskowanej technologii przy uwzględnieniu porozumienia podziału ryzyka generuje oszczędności dla płatnika publicznego (ceny pozostałych preparatów toksyny botulinowej typu A określono na podstawie komunikatów DGL NFZ).

Wykazano, że finansowanie wnioskowanej technologii wymagać będzie dodatkowych nakładów finansowych płatnika publicznego na poziomie (maksymalne wydatki obserwowane w analizie wrażliwości, **wariant bez RSS** dla wnioskowanej technologii):

■ [REDACTED]

■ [REDACTED]

■ [REDACTED]

■ [REDACTED]

Uznano, że istnieje konieczność przeprowadzenia analizy racjonalizacyjnej, ale wyłącznie dla wariantu nieuwzględniającego RSS – analizę racjonalizacyjną przeprowadzono w osobnym dokumencie.



## 12. BIBLIOGRAFIA

- [1] Wytyczne oceny technologii medycznych AOTMiT wersja 3.0, sierpień 2016. [www.aotm.gov.pl](http://www.aotm.gov.pl) (dostęp: maj 2019).
- [2] Drummond MF, O'Brien B, Stoddart GL, Torrance GW: Metody badań ekonomicznych programów ochrony zdrowia. Via Media, Gdańsk. 2003.
- [3] Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy zawarte w uzasadnieniu wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego oraz wniosku o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego objętego refundacją (Dz.U. z 2012 r. poz. 388).
- [4] Gajewski P, Jaeschke R, Brożek J: Podstawy EBM, czyli medycyny opartej na danych naukowych dla lekarzy i studentów medycyny. Medycyna Praktyczna Kraków 2008.
- [5] Sheskin DJ: Handbook of parametric and nonparametric statistical procedures. 4th edition, Chapman & Hall/CRC, Boca Raton, 2007.
- [6] Newman SC: Biostatistical methods in epidemiology. John Wiley & sons, Inc, 2001.
- [7] Zeliaś A, Pawełek B, Wanat S: Prognozowanie ekonomiczne. Wydawnictwo Naukowe PWN, Warszawa, 2003.
- [8] Willian AR, Briggs AH: Statistical analysis of cost-effectiveness data. John Wiley & Sons, Ltd, 2007.
- [9] Cantor SB, Ganiats TG: Incremental cost-effectiveness analysis: the optimal strategy depends on the strategy set. J Clin Epidemiol. 1999;52(6):517-22.
- [10] O'Brien BJ, Briggs AH: Analysis of uncertainty in health care cost-effectiveness studies: An introduction to statistical issues and methods. Statistical Methods in Medical Research. 2002, 11(6): 455-468.
- [11] Sonnenberg FA, Beck JR: Markov models in decision making: a practical guide. Med Decis Making 1993, 13: 322-329.
- [12] Miller DK, Homan SM: Determining transition probabilities: confusion and suggestions. Med Decis Making 1994;14:52-8.
- [13] Fleurence RL, Hollenbeak CS. Rates and probabilities in economic modelling: transformation, translation and appropriate application. Pharmacoeconomics. 2007;25(1):3-6.
- [14] Briggs AH, O'Brien JO, Blackhouse G: Thinking outside the box: recent advances in the analysis and presentation of uncertainty in cost-effectiveness studies. Annu Rev Public Health 2002. 23:377-401.
- [15] Tappenden P, Chilcott JB, Eggington S, Oakley J, McCabe C: Methods for expected value of information analysis in complex health economic models: developments on the health economics of interferon-b and glatiramer acetate for multiple sclerosis. Health Technol Assess 2004; 8(27).
- [16] Evans M, Hastings N and Peacock B: "Triangular Distribution." Ch. 40 in Statistical Distributions, 3rd ed. New York: Wiley, pp. 187-188, 2000.
- [17] Limpert E, Stahel WA and Abbt M. Lognormal distributions across the sciences: keys and clues. Bioscience 2001; 51 (5), 341-352.
- [18] Brennan A, Kharroubi S, O'Hagan A and Chilcott J. Calculating Partial Expected Value Of Perfect Information Via Monte-Carlo Sampling Algorithms. Medical Decision Making, 2007; 27 (4): 448-470.
- [19] Sculpher M, Claxton K: Establishing the cost-effectiveness of new pharmaceuticals under conditions of uncertainty--when is there sufficient evidence? Value Health. 2005;8(4):433-46.
- [20] Briggs AH, Mooney CZ, Wonderling DE. 1999, Constructing confidence intervals for cost-effectiveness ratios: an evaluation of parametric and non-parametric techniques using Monte Carlo simulation. Statistics in Medicine; 18: 3245-62.
- [21] Johnson, N.; Kotz, S.; and Balakrishnan, N. Continuous Univariate Distributions, Vol. 1, 2nd ed. New York: Wiley, 1995.
- [22] Zethraeus N, Johannesson M, Jönsson B, Löthgren M, Tambour M. Advantages of using the net-benefit approach for analysing uncertainty in economic evaluation studies. Pharmacoeconomics. 2003;21(1):39-48
- [23] Berger ML, Bingefors K, Hedblom EC, Pashos CL, Torrance GW: Health Care Cost, Quality, and Outcomes: ISPOR Book of Terms. Lawrenceville, NJ: ISPOR, 2003.
- [24] Connock M, Hyde C, Moore D. Cautions regarding the fitting and interpretation of survival curves: examples from NICE single technology appraisals of drugs for cancer. Pharmacoeconomics. 2011;29(10):827-37. doi: 10.2165/11585940-000000000-00000.
- [25] Soares MO, Canto E Castro L. Continuous time simulation and discretized models for cost-effectiveness analysis. Pharmacoeconomics. 2012;30(12):1101-17. doi: 10.2165/11599380-000000000-00000.
- [26] Alan Hastings. Population Biology: Concepts and Models. Springer, 1997. ISBN 978-0-387-94853-9.
- [27] Hoyle MW, Henley W. Improved curve fits to summary survival data: application to economic evaluation of health technologies. BMC Med Res Methodol. 2011;11:139.
- [28] Ishak KJ, Kreif N, Benedict A, Muszbek N. Overview of Parametric Survival Analysis for Health-Economic Applications. Pharmacoeconomics. 2013, 31:663-675.
- [29] Krol M, Brouwer W, Rutten F. Productivity costs in economic evaluations: past, present, future. Pharmacoeconomics. 2013;31(7):537-49. doi: 10.1007/s40273-013-0056-3.

- [30] Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych – Obwieszczenie Marszałka Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej z dnia 23 sierpnia 2016 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dz.U. 2016 poz. 1536.
- [31] Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz.U. 2004 nr 210 poz. 2135 z późn. zm. (tekst ujednolicony).
- [32] Ustawa z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto. Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817 (tekst ujednolicony).
- [33] WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology. [www.whocc.no/atc\\_ddd\\_index/](http://www.whocc.no/atc_ddd_index/) (ostatnia aktualizacja: maj 2019).
- [34] Husereau D, Drummond M, Petrou S, Carswell C, Moher D, Greenberg D, Augustovski F, Briggs AH, Mauskopf J, Loder E. Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards (CHEERS) statement. *Pharmacoeconomics*. 2013 ;31(5):361-7.
- [35] Trikalinos TA, Trow P, Schmid CH. Simulation-Based Comparison of Methods for Meta-Analysis of Proportions and Rates. *Methods Research Report*. (Prepared by the Tufts Medical Center Evidence-based Practice Center under Contract No. 290-2007-10055- I.) AHRQ Publication No. 13(14)-EHC084-EF. Rockville, MD: Agency for Healthcare Research and Quality; November 2013. [www.effectivehealthcare.ahrq.gov/reports/final.cfm](http://www.effectivehealthcare.ahrq.gov/reports/final.cfm).
- [36] Załącznik nr 1 obwieszczenia Prezesa Głównego Urzędu Statystycznego z dnia 31 października 2018 r. w sprawie szacunków wartości produktu krajowego brutto na jednego mieszkańca w latach 2014–2016. M.P.2017.1054.
- [37] Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 30 kwietnia 2019 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 maja 2019 r. (DZ. URZ. Min. Zdr. 2019.39)
- [38] Katalog produktów leczniczych i wyrobów medycznych portalu „Medycyna Praktyczna”, [www.mp.pl](http://www.mp.pl) (ostatnia aktualizacja: maj 2019).
- [39] Katalog leków Pharmindex, <http://pharmindex.pl> (ostatnia aktualizacja: maj 2019).
- [40] Przygotowana przez Centrum HTA Analiza Problemu Decyzyjnego (APD). Kraków, maj 2019 roku.
- [41] Przygotowana przez Centrum HTA Analiza kliniczna (AK) – przegląd systematyczny badań dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, maj 2019 roku.
- [42] Komunikat DGL z 05-07-2018. Wielkość kwoty refundacji i ilość zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN, narastająco od stycznia do grudnia 2017 r.; [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [43] Komunikat DGL 23-03-2017. Wielkość kwoty refundacji i ilość zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN, narastająco od stycznia do grudnia 2016 r.; [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl) (dane z komunikatu DGL z 14 cze 2017 dotyczą 2015 roku).
- [44] Center for the Evaluation of Value and Risk in Health. The Cost-Effectiveness Analysis Registry [Internet]. (Boston), Institute for Clinical Research and Health Policy Studies, Tufts Medical Center. Available from: [www.cearegistry.org](http://www.cearegistry.org) (ostatnia aktualizacja: maj 2019).
- [45] Holko P. Search Embase.com for economic evaluations: translation of published OVID and PubMed query (Neyt M and Chalon PX. *Pharmacoeconomics*. 2013;31:1087-90). Jan 2014. DOI: 10.13140/RG.2.2.36545.66407.
- [46] AWA do zlecenia 168/2013 dla Dysport. <http://bipold.aotm.gov.pl/index.php/zlecenia-mz-2012-2015?id=1364>
- [47] AWA do zlecenia 91/2014 dla Xeomin. <http://bipold.aotm.gov.pl/index.php/zlecenia-mz-2012-2015?id=2658>
- [48] Statystyka NFZ. <https://statystyki.nfz.gov.pl/Benefits/1a>
- [49] Komunikat DGL z 25-03-2019. Wielkość kwoty refundacji i ilość zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN, narastająco od stycznia do grudnia 2018 r.; [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [50] Edwards SJ, Barton S, Thurgar E, Trevor N. Topotecan, pegylated liposomal doxorubicin hydrochloride, paclitaxel, trabectedin and gemcitabine for the treatment of recurrent ovarian cancer: A Multiple Technology Appraisal. *Health Technol Assess* 2015;19(7).
- [51] Neyt M, Chalon PX. Search MEDLINE for economic evaluations: tips to translate an OVID strategy into a PubMed one. *Pharmacoeconomics*. 2013;31(12):1087-90.
- [52] Glick H, Doshi J. Evaluating sampling uncertainty in cost-effectiveness analysis: statistical considerations in economic evaluations. ISPOR 16th Annual International Meeting, May 2011. <http://www.uphs.upenn.edu/dgimhsr/documents/3.ispor.uncertainty.052211.pdf>

- [53] Holko P. VBA function to estimate Fieller's method confidence intervals for incremental cost-effectiveness ratios (ICER) and confidence intervals for incremental net monetary benefit (INMB). 11/2016, Language: VBA Excel, DOI: 10.13140/RG.2.2.27988.40323
- [54] Stata Programs: Sampling Uncertainty for Cost-Effectiveness (Revised 07/21/15). <http://www.uphs.upenn.edu/dgimhsr/stat-cicer.htm> (ostatnia aktualizacja: maj 2019).
- [55] Guyot P, Ades AE, Ouwens MJ, Welton NJ. Enhanced secondary analysis of survival data: reconstructing the data from published Kaplan-Meier survival curves. *BMC Med Res Methodol.* 2012;12:9. doi: 10.1186/1471-2288-12-9.
- [56] Charakterystyka produktu leczniczego Botox, <http://pub.rejestrymedyczne.csioz.gov.pl/ProduktSzczegoly.aspx?id=20166>
- [57] Charakterystyka produktu leczniczego Xeomin, <http://pub.rejestrymedyczne.csioz.gov.pl/ProduktSzczegoly.aspx?id=19279>
- [58] Charakterystyka produktu leczniczego Dysport, <http://pub.rejestrymedyczne.csioz.gov.pl/ProduktSzczegoly.aspx?id=20155>
- [59] Katalog ASDK. Załącznik nr 1b do zarządzenia nr 22/2018/DGL Prezesa NFZ z dnia 14 marca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)
- [60] Opis grup. Załącznik nr 2 do zarządzenia Nr 64/2018/DSOZ Prezesa NFZ zmieniającego zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)
- [61] Katalog zakresów w rodzaju świadczenia zdrowotne kontraktowane odrębnie. Załącznik nr 1 do zarządzenia nr 127/2017/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 19 grudnia 2017 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [62] Uchwała Nr 4/2017/III Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 14 marca 2017 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2016 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [63] Uchwała Nr 2/2018/III Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 8 marca 2018 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2017 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [64] Uchwała Nr 3/2019/III Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 15 marca 2019 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [65] Katalog ambulatoryjnych grup świadczeń specjalistycznych. Załącznik nr 1 do zarządzenia Nr 64/2018/DSOZ Prezesa NFZ zmieniającego zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)
- [66] Katalog grup. Załącznik nr 1a do zarządzenia nr 66/2018/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 29 czerwca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [67] Katalog świadczeń w opiece paliatywnej i hospicyjnej. Załącznik nr 1 do zarządzenia nr 74/2018/DGL Prezesa NFZ z dnia 31 lipca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)
- [68] Katalog świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych dla świadczeń gwarantowanych od 01.07.2018 r. do 31.12.2018 r. Załączniki nr 1-5 do zarządzenia nr 73/2018/DGL Prezesa NFZ z dnia 30 lipca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)
- [69] Katalog współczynników. Załącznik nr 5 do zarządzenia nr 75/2018/DGL Prezesa NFZ z dnia 31 lipca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)
- [70] Katalog świadczeń i zakresów - leczenie szpitalne - programy zdrowotne (lekowe). Załącznik nr 1k do zarządzenia nr 75/2018/DGL Prezesa NFZ z dnia 31 lipca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [71] Katalog leków refundowanych. Załącznik nr 1m do zarządzenia nr 75/2018/DGL Prezesa NFZ z dnia 31 lipca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [72] Katalog ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych. Załącznik nr 1l do zarządzenia nr 75/2018/DGL Prezesa NFZ z dnia 31 lipca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [73] Katalog świadczeń odrębnych. Załącznik nr 1b do zarządzenia nr 66/2018/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 29 czerwca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [74] Katalog świadczeń do sumowania. Załącznik nr 1c do zarządzenia nr 66/2018/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 29 czerwca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [75] Katalog produktów TISS. Załącznik nr 1ts do zarządzenia nr 66/2018/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 29 czerwca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [76] Katalog radioterapii. Załącznik nr 1d do zarządzenia nr 66/2018/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 29 czerwca 2018 r.
- [77] Katalog świadczeń do sumowania. Załącznik nr 7 do zarządzenia nr 66/2018/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 29 czerwca 2018 r. [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl).
- [78] AWA do zlecenia 40/2014 dla Botox. <http://bipold.aotm.gov.pl/index.php/zlecenia-mz-2012-2015?id=2425>
- [79] Dinet J, Lambrelli D, Balcaitiene J. Economic Modeling of The Use of Botulinum Toxin A in A Homogenous Patient Population Based on Real-Life Clinical Practice: Ullis-II (The Upper Limb International Spasticity Study). *Value Health.* 2014;17(7):A377. doi: 10.1016/j.jval.2014.08.2596.
- [80] Scaglione F. Conversion Ratio between Botox®, Dysport®, and Xeomin® in Clinical Practice. *Toxins (Basel).* 2016;8(3): pii: E65. doi:10.3390/toxins8030065.
- [81] Ravenni R, De Grandis D, Mazza A. Conversion ratio between Dysport and Botox in clinical practice: an overview of available evidence. *Neurol Sci.* 2013;34(7):1043-8. doi: 10.1007/s10072-013-1357-1.

- [82] Makino K, Tilden D, Guarnieri C, Mudge M, Baguley IJ. Cost Effectiveness of Long-Term Incobotulinumtoxin-A Treatment in the Management of Post-stroke Spasticity of the Upper Limb from the Australian Payer Perspective. *Pharmacoecon Open*. 2019;3(1):93-102. doi: 10.1007/s41669-018-0086-z.
- [83] Rychlik R, Kreimendahl F, Schnur N, Lambert-Baumann J, Dressler D. Quality of life and costs of spasticity treatment in German stroke patients. *Health Econ Rev*. 2016;6(1):27. doi: 10.1186/s13561-016-0107-5.
- [84] Schnitzler A., Rousset L., de Oliveira L., Velickovic D., Danchenko N. Economic benefits of adult upper limb spasticity treatment with abobotulinumtoxinA compared with onabotulinumtoxinA or incobotulinumtoxinA: Analysis of a real-life setting in France. *Toxicon* 2018 156 Supplement 1 (S103-S104).
- [85] de Andrés-Nogales F., Oyagüez I., Morell A., Casado M.Á. Cost analysis of botulinum toxin a (botox® and xeomin®) in real-world clinical practice. *Value in Health* 2018 21 Supplement 3 (S334-)
- [86] Turcu-Stiolica A., Subtirelu M. Cost-effectiveness of treating romanian post-stroke patients with upper limb spasticity with incobotulinumtoxin-A against conventional therapy. *Value in Health* 2018 21 Supplement 1 (S206-S207).
- [87] K Makino, D Tilden, C Guarnieri, M Mudge, I Baguley. Cost-effectiveness of incobotulinumtoxin-a in the longer-term management of post-stroke spasticity of the upper limb. *Value in Health* 2017 20 :9 (A724)
- [88] J.Dineta, M.Lambrelli, M.Rabbani. Economic modeling of the use of botulinum toxin A in a homogenous patient population based on real-life clinical practice: ULIS-II (The Upper Limb International Spasticity Study); the French perspective. *Annals of Physical and Rehabilitation Medicine* 2015 58 SUPPL. 1 (e88)
- [89] R. Yagudina, A. Kulikov, D. Ugrehelidze. Pharmacoeconomic study of botulinum toxin type a in treatment of post-stroke spasticity in the Russian federation: Cost-effectiveness analysis. *Value in Health* 2014 17 :7 (A395).
- [90] Dyrektywa 2004/27/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r. zmieniająca dyrektywę 2001/83/WE w sprawie wspólnotowego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi. Dz.U. L 136 z 30.4.2004, str. 34–57.
- [91] EMA. Data exclusivity, market protection and paediatric rewards. Workshop for Micro, Small and Medium Sized Enterprises EMA. [www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Presentation/2013/05/WC500143122.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Presentation/2013/05/WC500143122.pdf)
- [92] US\$67 billion worth of biosimilar patents expiring before 2020. 20/01/2014. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/General/US-67-billion-worth-of-biosimilar-patents-expiring-before-2020>.
- [93] IMS. Delivering on the Potential of Biosimilar Medicines. March 2016. [https://www.imshealth.com/files/web/IMSH%20Institute/Healthcare%20Briefs/Documents/IMS\\_Institute\\_Biosimilar\\_Brief\\_March\\_2016.pdf](https://www.imshealth.com/files/web/IMSH%20Institute/Healthcare%20Briefs/Documents/IMS_Institute_Biosimilar_Brief_March_2016.pdf).
- [94] Golicki D, Niewada M. General population reference values for 3-level EQ-5D (EQ-5D-3L) questionnaire in Poland. *Pol Arch Med Wewn*. 2015;125(1-2):18-26.
- [95] Robertson A, Datta P, Kusel J, Page S, Soon J. Real-World Data And Budget Impact Analysis for Incobotulinum Toxin A and Onabotulinum Toxin A for Upper Limb Post-Stroke Spasticity At A Uk Centre. *Value Health*. 2015;18(7):A752. doi:10.1016/j.jval.2015.09.2911.
- [96] GUS. Trwanie życia w 2017 r. 09.08.2018. <http://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/trwanie-zycia/trwanie-zycia-w-2017-r-,2,12.html>
- [97] GUS. Rocznik Demograficzny 2018. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2018,3,12.html>
- [98] PBAC. <http://www.pbs.gov.au/industry/listing/elements/pbac-meetings/psd/2014-07/incobotulinumtoxin-psd-07-2014.pdf>
- [99] CADTH. Xeomin. [https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/cdr\\_complete\\_Xeomin\\_Post-Stroke\\_Spasticity-December-18-2009.pdf](https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/cdr_complete_Xeomin_Post-Stroke_Spasticity-December-18-2009.pdf)
- [100] CADTH. Dysport. [https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/pharmacoeconomic/SR0517\\_Dysport\\_Therapeutic\\_PE\\_Report.pdf](https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/pharmacoeconomic/SR0517_Dysport_Therapeutic_PE_Report.pdf)
- [101] SMC. Dysport. [https://www.scottishmedicines.org.uk/media/1486/clostridium\\_botulinum\\_type\\_a\\_toxin\\_300500\\_unit\\_injection\\_dysport\\_resub\\_final\\_dec\\_2012\\_amended\\_201212\\_for\\_website.pdf](https://www.scottishmedicines.org.uk/media/1486/clostridium_botulinum_type_a_toxin_300500_unit_injection_dysport_resub_final_dec_2012_amended_201212_for_website.pdf)
- [102] Analiza ekonomiczna dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, maj 2019 roku.

---

### 13. SPIS TABEL

Tabela 1. Ocena zasadności kwalifikacji Xeomin® do istniejącej grupy limitowej.....	11
Tabela 2. Zestawienie założeń porównywanych scenariuszy.....	15
Tabela 3. Odsetek sprzedaży preparatów Xeomin® wśród preparatów zawierających 100 jednostek toksyny botulinowej typu A.....	17
Tabela 4. Podsumowanie wielkości populacji pacjentów, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej – dane typu zapadalność. W nawiasach podano wyniki skrajnych scenariuszy: minimalnego i maksymalnego; wartości zaokrąglone.....	22
Tabela 5. Charakterystyka wariantów wielkości populacji docelowej uwzględnionych w ramach analizy podstawowej.....	25
Tabela 6. Wykaz wszystkich parametrów analizy wpływu na budżet – parametry wspólne wariantów oceny wielkości populacji lub parametry zależne od liczebności populacji.....	25
Tabela 7. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.....	26
Tabela 8. Aktualne wydatki z budżetu na leczenie toksyną botulinową typu A chorych ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu.....	28
Tabela 9. Wyniki analizy wpływu na budżet.....	29
Tabela 10. Wyniki analizy wrażliwości.....	31
Tabela 11. Liczba refundowanych opakowań wnioskowanej technologii.....	35
Tabela 12. Ocena zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań oraz ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTMiT.....	47

## 14. SPIS RYSUNKÓW

Rysunek 1. Liczba pacjentów stosujących toksyny botulinowe typu A w ramach programu B.28. Liczby serii „Tylko Xeomin” określone na podstawie liczebności chorych stosujących fiołki 100 jednostek w latach 2016 – 2018 oraz określonej struktury rynku sprzedaży tych fiołek (por. tabela 3.).	18
Rysunek 2. Prognozy liczby chorych stosujących preparaty toksyny botulinowej typu A w ramach programu B.57.	20
Rysunek 3. Odsetek wykorzystania Xeomin® wśród preparatów stosowanych w programie B.57., zawierających 100 jednostek toksyny botulinowej typu A w fiołce.	21
Rysunek 4. Ekstrapolacja wykorzystania fiołek 300 jednostek wśród wszystkich fiołek produktu Dysport®.	24

## 15. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY

Tabela 12. Ocena zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań oraz ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTMIT.

Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
<b>Część I. Pytania związane z oceną spełnienia minimalnych wymagań</b>				
§ 2.	Czy informacje zawarte w analizie wpływu na budżet są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały: 2.4. – 2.8.	MAJ 2019; część informacji przedstawiono w Analizie ekonomicznej
	Czy informacje w zakresie cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały: 2.1. i 2.7.	Aktualne Obwieszczenie Ministra Zdrowia (na 1 maja 2019 roku)
	Czy informacje w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały 2.6. i 2.8.	Aktualny przegląd systematyczny
	Czy przedstawiane w analizie wyniki przeglądów systematycznych (użyteczności, konwergencji wyników, itp.) są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	-	szczegóły w Analizie ekonomicznej
§ 6. ust 1.	Czy analiza wpływu na budżet zawiera:			
pkt 1 lit a	<ul style="list-style-type: none"> <li>oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana lub komentarz stwierdzający zgodność wskazanej populacji z populacją z pkt 1 lit b?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
pkt 1 lit b	<ul style="list-style-type: none"> <li>oszacowanie rocznej liczebności populacji docelowej, wskazanej we wniosku?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
pkt 1 lit c	<ul style="list-style-type: none"> <li>oszacowanie rocznej liczebności populacji w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> <li>oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
§ 6. ust 1. pkt 1 i 2	<ul style="list-style-type: none"> <li>tabelkę ze wskazaniem rocznej liczebności populacji o której mowa w § 6. ust 1. pkt 1 i 2 rozporządzenia (informacje dla każdego roku horyzontu czasowego w tym zakresie)</li> </ul>	TAK	w rozdziale 2.5.2.3.	-
pkt 3	<ul style="list-style-type: none"> <li>oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów <u>w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.1.	-

Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
pkt 4	<ul style="list-style-type: none"> <li>ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów <u>w</u> stanie klinicznym wskazanym <u>we wniosku</u>, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <u>nie wyda decyzji o objęciu refundacją</u>, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	Prognoza opisana jako „scenariusz istniejący” lub <i>status quo</i>
	<ul style="list-style-type: none"> <li>wyszczególnienie składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii ww. prognozy?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 5	<ul style="list-style-type: none"> <li>ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym <u>we wniosku</u>, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <u>wyda decyzję o objęciu refundacją</u>, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	Prognoza opisana jako „nowy scenariusz”; założono pozytywną decyzję w ramach tego scenariusza
	<ul style="list-style-type: none"> <li>wyszczególnienie składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii ww. prognozy?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 6	<ul style="list-style-type: none"> <li>oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym <u>we wniosku</u>, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 (<u>różnica w całkowitych wydatkach na pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>)?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	-
	<ul style="list-style-type: none"> <li>oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych związanych z refundacją ceny wnioskowanej technologii (<u>różnice w wydatkach na refundację ceny wnioskowanej technologii</u>)?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 7	<ul style="list-style-type: none"> <li><u>minimalny i maksymalny</u> wariant oszacowania, o którym mowa w pkt 6 – różnica pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 (<u>różnicy w całkowitych wydatkach na pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>)?</li> </ul>	TAK	Rozdziały 3.2.	-
	<ul style="list-style-type: none"> <li><u>minimalny i maksymalny</u> wariant oszacowania, o którym mowa w pkt 6 – różnica pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 w zakresie wydatków dotyczących refundacji ceny wnioskowanej technologii (<u>różnicy w wydatkach na refundację ceny wnioskowanej technologii</u>)?</li> </ul>	TAK	Rozdziały 3.2.	-
pkt 8	<ul style="list-style-type: none"> <li>zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognoz, o których mowa w pkt 4 i 5;</li> </ul>	TAK	Rozdziały 2. i 3., podsumowanie w Tabeli 5, Tabela 6	Szczegóły dotyczące danych wejściowych w analizie ekonomicznej



Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
pkt 9	<ul style="list-style-type: none"> <li>wyszczególnienie założeń, na podstawie, których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognoz, o których mowa w pkt 4 i 5?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2., podsumowanie w rozdziale 2.9.	Część informacji przedstawiona w analizie ekonomicznej (nie duplikowano przedstawionych informacji)
	<ul style="list-style-type: none"> <li>wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.1.	-
pkt 10	<ul style="list-style-type: none"> <li>dokument elektroniczny, umożliwiający <u>powtórzenie</u> wszystkich kalkulacji, w wyniku, których uzyskano oszacowania, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w pkt 4 i 5. oraz komentarz w raporcie stwierdzający obecność takiego dokumentu?</li> </ul>	TAK	Mowa o nim m.in. w rozdziale 2.5.	-
§ 6. ust 2.	Czy przeprowadzone oszacowania przeprowadzono w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 3. pkt 4.	Czy przeprowadzone oszacowania obejmują przewidywany przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku od zajścia zmiany wynikającej z wydania przez ministra właściwego do spraw zdrowia decyzji o objęciu refundacją?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 3. pkt 4.	Czy przeprowadzone oszacowania obejmują przewidywany przedział czasu nie krótszy niż 2 lata?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 6. ust 3.	Czy szacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonano na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-
	Czy jeżeli nie było możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet zawiera <u>dotatkowy wariant</u> , w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane?	TAK	Rozdział 2.5.	-
§ 6. ust 1.	Czy opisano metody analizy w zakresie: rodzaju parametrów epidemiologicznych określających wielkość populacji (zapadalność vs. rozpowszechnienie), okresu generowania wyników zdrowotnych i kosztów (np. przesunięcie w czasie wynikające z takiego samego prawdopodobieństwa włączenia do obserwacji pacjentów), estymacji wyników BIA z uwzględnieniem wyników analizy ekonomicznej (wyniki w ujęciu populacyjnym na podstawie wyników modelowania kohortowego), jeżeli dotyczy?	TAK	Rozdziały 2.5., 2.6. i 2.8.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 1-2 (wielkość populacji), przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	<ul style="list-style-type: none"> <li>z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.5.	
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> <li>bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.5.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 3 (aktualne wydatki), przedstawiono w następujących wariantach:			

Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
pkt 1	<ul style="list-style-type: none"> <li>z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.1.	-
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> <li>bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.1.	-
<b>§ 6. ust 4.</b>	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5 (całkowite wydatki dla porównywanych prognoz) przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	<ul style="list-style-type: none"> <li>z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> <li>bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.	-
<b>§ 6. ust 4.</b>	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 6 i 7 (różnice w całkowitych wydatkach, różnice w wydatkach na refundację wnioskowanej technologii – wariant średni, minimalny, maksymalny) przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	<ul style="list-style-type: none"> <li>z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.-3.3.	-
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> <li>bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 3.2.-3.3.	-
<b>§ 6. ust 5.</b>	Czy 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?	TAK	Rozdział 2.1.	-
<b>§ 6. ust 6.</b>	Czy 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.	TAK	Rozdział 2.1.	-
<b>§ 3. pkt 7 i 9</b>	Czy obliczenia przedstawione w analizie wpływu na budżet uwzględniają procedury medyczne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym, we wnioskowanym wskazaniu, zgodnie ze stanem faktycznym w dniu złożenia wniosku lub komentarz argumentujący brak takich procedur?	TAK	Rozdział 2.4.	-
<b>§ 3. pkt 7 i 9</b>	Czy obliczenia przedstawione w analizie wpływu na budżet uwzględniają refundowane na terenie Polski procedury medyczne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym, we wnioskowanym wskazaniu, zgodnie ze stanem faktycznym w dniu złożenia wniosku lub komentarz argumentujący brak takich procedur?	TAK	Rozdział 2.4.	-
<b>§ 8.</b>	Czy analiza zawiera:			
pkt 1	<ul style="list-style-type: none"> <li>dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji?</li> </ul>	TAK	Rozdział 12.	-
pkt 2	<ul style="list-style-type: none"> <li>wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii?</li> </ul>	TAK	Rozdział 2.;	-

Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
<b>Część II. Ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTM (wypełnia audytor/koordynator)</b>				
AWA	Czy założenia dotyczące liczebności populacji pacjentów, w której będzie stosowany i finansowany wnioskowany lek zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
AWA	Czy uzasadniono wybór horyzontu czasowego?	TAK	Rozdział 2.3.	-
AWA	Czy założenia dotyczące leków obecnie stosowanych w danym wskazaniu i ich finansowania (ceny, limity, poziom odpłatności) i innych uwzględnionych świadczeń (wycena punktowa i wartość punktów) są zgodne ze stanem na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.7.	Szczegóły przedstawiono w analizie ekonomicznej;
AWA	Czy założenia dotyczące zmian w analizowanym rynku leków zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.5.2.	-
AWA	Czy założenia dotyczące struktury i zmian w analizowanym rynku leków są zgodne z założeniami dotyczącymi komparatorów przyjętymi w analizach klinicznej i ekonomicznej?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.5.2.	-
AWA	Czy twierdzenia i założenia dotyczące aktualnej i przyszłej sprzedaży wnioskowanego leku są spójne z danymi udostępnionymi przez NFZ?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
AWA	Czy twierdzenia i założenia dotyczące przyszłej sprzedaży leku są spójne z danymi z wniosku?	TAK	Rozdział 2.5.2.; 4.	-
AWA	Czy założenie dotyczące poziomu odpłatności wnioskowanego leku spełnia kryteria art. 14 ustawy o refundacji?	TAK	Rozdział 2.1.	-
AWA	Czy założenie dotyczące kwalifikacji wnioskowanego leku do grupy limitowej zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdział 2.1.	-
AWA	Czy dokonano oceny niepewności uzyskiwanych oszacowań?	TAK	Rozdziały 2.9. i 3.3.-3.5.	Analiza wartości skrajnych + analiza wrażliwości
AWA	Czy nie pominięto żadnej istotnej dla oceny wpływu na budżet kategorii kosztów?	TAK	Rozdziały 2.7. i 3.5.	Szczegóły w analizie ekonomicznej
AWA	Czy uzasadniono prognozę przekroczenia całkowitego budżetu na refundację i udziału podmiotu w kwocie przekroczenia?	Nie dotyczy	Rozdział 3.	Por. informacje w Analizie racjonalizacyjnej
AWA	Czy nie stwierdzono innych błędów w podejściu analitycznym wnioskodawcy, obniżających wiarygodność przedstawionej analizy?	TAK	-	Nie stwierdzono
AWA	Czy nie stwierdzono błędów w obliczeniach lub ekstrakcji danych, które wpłynęły na wyniki oszacowań?	TAK	-	Nie stwierdzono
<b>Część III. Dodatkowe pytania związane z oceną analizy opracowane m.in. na podstawie Wytycznych AOTM (wypełnia audytor/koordynator)</b>				
5.1.1. W.AOTM	Czy zdefiniowano charakter populacji (otwarta/zamknięta) i czy przedstawiono kryteria włączenia i wyłączenia poszczególnych pacjentów z analizy wpływu na budżet (generowania raportowanych kosztów i efektów)?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-

Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
5.1.1. W.AOTM	Czy w przypadku współpłacenia przedstawiono koszty ponoszone przez pacjenta, ich wartości średnie, a w uzasadnionych przypadkach także zakres?	TAK	Rozdział 2.2.	-
5.1.1. W.AOTM	Czy analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy świadczeniobiorcy lub przedstawiono komentarz argumentujący brak tej perspektywy?	TAK	Rozdział 2.2.	-
5.1.2. W.AOTM	Czy uwzględniono horyzont czasowy wystarczający do ustalenia równowagi na rynku lub obejmujący co najmniej pierwsze 2 lata (tj. 24 miesiące) od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych?	TAK	Rozdział 2.3.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy zdefiniowano punkt początkowy analizy wpływu na budżet i czy przedstawiono wyniki oceny wpływu wnioskowanej technologii na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej (podział horyzontu czasowego na okresy związane z planowanym budżetem płatnika publicznego)?	TAK	Rozdział 2.3.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy przeprowadzono analizę wrażliwości?	TAK	Rozdział 2.9.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy uwzględniono scenariusz przedstawiający aktualną praktykę („scenariusz istniejący”) oraz scenariusz przewidywany po wprowadzeniu nowej/usunięciu obecnie refundowanej technologii („scenariusz nowy”), koszty ww. scenariuszy oraz wyniki inkrementalne?	TAK	Rozdział 2.4.	-
5.1.4. W.AOTM	Czy uwzględniono źródła danych zgodne z opisem przedstawionym w rozdziale 5.1.4. Wytucznych oraz czy przedstawiono sposób ich wyszukiwania?	TAK	Rozdział 2.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy wzięto pod uwagę możliwe zwiększenie liczebności populacji indukowane dostępnością nowej technologii na rynku?	TAK	Rozdziały 2.4., 2.5.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy liczebność populacji oceniono poprzez: (1) określenie rozpowszechnienia rozważanego stanu chorobowego, (2) oszacowanie liczby osób, dla których istniałyby wskazania do zastosowania technologii, (3) oszacowanie pozycji rynkowej technologii w poszczególnych wskazaniach na podstawie spodziewanego odsetka populacji, który będzie używać rozważanej technologii, w zestawieniu z częścią populacji, która będzie używać technologii opcjonalnych w danym wskazaniu?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy skonstruowano alternatywne warianty do oceny liczebności populacji?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
5.1.6. W.AOTM	Czy opisano i uzasadniono założenia dotyczące „scenariusza istniejącego” oraz „scenariusza nowego”?	TAK	Rozdział 2.4.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy zostało przeanalizowane stwierdzenie, że skalkulowane wydatki będą zauważalne w rzeczywistej praktyce?	TAK	Rozdział 3.2.	-

Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
5.1.7. W.AOTM	Czy przedstawiono wyniki oceny zużycia poszczególnych świadczeń medycznych uwzględnionych w analizie?	TAK	Rozdział 3. i 4.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy nie uwzględniono dyskontowania wraz z komentarzem uzasadniającym to podejście?	TAK	Rozdział 2.7.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy w ocenie kosztów całkowitych uwzględniono: wydatki związane z ocenianą technologią, koszt dodatkowych nakładów w systemie ochrony zdrowia związanych z wdrożeniem ocenianej technologii, zmniejszenie nakładów związanych ze zmniejszonym stosowaniem dotychczasowych technologii w przypadku przejścia na ocenianą technologię, zmniejszenie kosztów związanych z oszczędnościami w zakresie innych świadczeń (np. redukcją hospitalizacji)?	TAK	Rozdziały 2.6., 2.7.	
- W.AOTM	Czy przedstawiono komentarz związany z opisem warunków wprowadzenia wnioskowanej technologii i związanych z tym kosztów (potrzeba przeszkolenia personelu, opracowania nowych wytycznych klinicznych bądź zmiany zasad diagnostyki)?	TAK	Rozdział 6.	-
- W.AOTM	Czy przedstawiono wpływ rozważanej decyzji na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych (wydatki publiczne w sektorach innych niż ochrona zdrowia)?	TAK	Rozdział 6.	-
Czy przeanalizowano aspekty etyczne i społeczne rozważanej decyzji, w zakresie:				
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>kosztów lub wyników zdrowotnych dotyczących osób innych niż w stanie klinicznym wskazanym we wniosku (wpływy zewnętrzne)?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>faworyzowania niektórych grup pacjentów na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>równego dostępu do wnioskowanej technologii przy jednakowych potrzebach?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>zakresu korzyści w odniesieniu do wielkości populacji (duża korzyść dla wąskiej grupy osób; korzyść mała, ale powszechna)?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>niezaspokojonych dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>odpowiedzi dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>generowania problemów społecznych (tj. poziomu satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej, akceptacji postępowania przez poszczególnych chorych, stygmatyzacji, lęku, dylematów moralnych, problemów dotyczących płci, problemów rodzinnych)</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>braku sprzeczności rozważanej decyzji z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-

Nr <sup>a</sup>	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie <sup>b</sup>	Uwagi
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>konieczności dokonania zmian w prawie/przepisach w wyniku podjęcia rozważanej decyzji?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>oddziaływania rozważanej decyzji na prawa pacjenta lub prawa człowieka?</li> </ul>	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	<ul style="list-style-type: none"> <li>szczególnego podejścia do pacjenta, tj. konieczności szczególnego informowania pacjenta/opiekuna, potrzeby zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych oraz potrzeby uwzględniania indywidualnych preferencji, po przedstawieniu choremu/opiekunowi informacji w zakresie określonym w prawie?</li> </ul>	TAK	Rozdział 6. i 7.	-
5.2. W.AOTM	Czy podsumowanie analizy wpływu na system ochrony zdrowia przeprowadzono w oparciu o analizę SWOT?	Nie dotyczy	-	-
5.3. W.AOTM	Czy przedstawiono wnioski odnoszące się do celu analizy i będące bezpośrednio związane z uzyskanymi wynikami?	TAK	Rozdział 10.	-
5.1.10. W.AOTM	Czy przedstawiono dyskusję, w tym omówienie ograniczeń analizy?	TAK	Rozdział 8. i 9.	-

<sup>a</sup> fragment tekstu Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku ( Dz. U. Min. Zdr. 2012, poz. 388) do którego odnoszą się wskazane pytania; AWA – pytania zaczerpnięte z analiz weryfikacyjnych AOTMiT; W.AOTM – dodatkowe pytania zgodności analizy z Wytocznymi AOTMiT z 2016 roku;

<sup>b</sup> numer rozdziału, tabeli, wykresu i/albo strony umożliwiający identyfikację fragmentu(ów) analizy odnoszącego(ych) się do wskazanego zagadnienia