



Tafamidis (Vyndaqel[®]) w leczeniu kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej

Analiza racjonalizacyjna

Warszawa, 2021

Autorzy

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Dane kontaktowe

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

Konflikt interesów

Opracowanie zamówione i sfinansowane przez Pfizer Polska Sp. z o.o., ul. Żwirki i Wigury 16B, 02-092 Warszawa.

Spis treści

Wykaz skrótów i akronimów	3
1 Założenia analizy	4
2 Przedmiot analizy	5
3 Metodyka.....	6
4 Wyniki analizy	12
Spis tabel	13
Bibliografia	14

Wykaz skrótów i akronimów

BIA	analiza wpływu na budżet (ang. <i>budget impact analysis</i>)
DGL	Departament Gospodarki Lekami
n.d.	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PLN	polski złoty
RSS	mechanizm dzielenia ryzyka (ang. <i>risk sharing scheme</i>)

1 Założenia analizy

Analiza racjonalizacyjna przedkładana jest w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji. Analiza ta powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet.

Problemem związanym z wykonaniem analizy racjonalizacyjnej jest ograniczona wielkość rynku, z którego można uwalniać środki publiczne, zarówno w aspekcie całkowitego rynku leków, jak i w aspekcie rynku poszczególnych grup terapeutycznych. W przypadku braku identyfikacji możliwości uwolnienia środków w obrębie rynku dla wskazania, w którym składany jest wniosek refundacyjny, należy zidentyfikować oszczędności w obrębie rynku innych grup terapeutycznych [Ustawa refundacyjna 2011].

2 Przedmiot analizy

Przedmiotem analizy jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów płatnika publicznego związanego z finansowaniem preparatu Vyndaqel® (tafamidis) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej w ramach nowo utworzonego programu lekowego pt. „Leczenie tafamidsem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD 10 E85)”.

3 Metodyka

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

Ze względu na brak możliwości uwolnienia środków w pożądanej wysokości z produktów stosowanych we wskazaniu, w analizie rozważano możliwości uwolnienia środków w obrębie rynku innych grup terapeutycznych. Tym samym w ramach analizy racjonalizacyjnej wskazano możliwość obniżenia limitu finansowania, który wynikać będzie z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie stosowanych substancji czynnych:

- paliwizumabu (Synagis[®], grupa limitowa 1073.0, Palivizumab),
- tocilizumabu (RoActemra[®], grupa limitowa 1106.0, Tocilizumab),
- dazatynibu (Sprycel[®], grupa limitowa 1059.0, Dazatynib),
- omalizumabu (Xolair[®], grupa limitowa 1102.0, Omalizumabum),
- ekulizumabu (Soliris[®], grupa limitowa 1171.0, Ekulizumab),
- sorafenibu (Nexavar[®], grupa limitowa 1078.0, Sorafenib),
- brentuksymabu vedotinu (Adcetris[®], grupa limitowa 1142.0, Brentuksymab vedotin),
- alemtuzumabu (Lemtrada[®], grupa limitowa 1160.0, Alemtuzumab),
- certolizumabu pegolu (Cimzia[®], grupa limitowa 1104.0, Certolizumab pegol),
- trastuzumabu emtanzyny (Kadcyla[®], grupa limitowa 1082.1, Trastuzumab emtanzyna),
- ranibizumabu (Lucentis[®], grupa limitowa 1134.0, Ranibizumab),
- pertuzumabu (Perjeta[®], grupa limitowa 1147.0, Pertuzumab),
- natalizumabu (Tysabri[®], grupa limitowa 1116.0, Natalizumab) [Obwieszczenie MZ].

Preparaty biopodobne dla paliwizumabu, tocilizumabu, dazatynibu, omalizumabu, ekulizumabu, certolizumabu pegolu, ranibizumabu, natalizumabu są już w fazie badań [GaBI 2015, GaBI 2016a, GaBI 2016b, GaBI 2017a, GaBI 2017b, GaBI 2019a, GaBI 2019b, GaBI 2019c].

Wybór leków wynika z terminu wygaśnięcia praw ochrony patentowej dla tych substancji czynnych – patenty dla produktów Synagis[®] (paliwizumab), RoActemra[®] (tocilizumab), Sprycel[®] (dazatynib), Xolair[®] (omalizumab), Soliris[®] (ekulizumab), Kadcyla[®] (trastuzumab emtanzyna), Lemtrada[®] (alemtuzumab), Tysabri[®] (natalizumab), Cimzia[®] (certolizumab pegolu) już wygasły.

Z kolei dla produktów dla Lucentis[®] (ranibizumab) w 2022 roku, dla Perjeta[®] (pertuzumab) w marcu 2023, zaś dla Adcetris[®] (brentuksymab vedotinu) w sierpniu 2023 roku.

W związku z tym oszczędności mogą być generowane od momentu wprowadzenia finansowania wnioskowanego preparatu w analizowanym wskazaniu [GABIONLINE 2017, GABIONLINE 2018].

[REDACTED]

[REDACTED]

Założono, że uwolnione środki będą na stałym poziomie w kolejnych latach. Analizę przeprowadzono dla dwuletniego horyzontu czasowego, analogicznego do horyzontu analizy wpływu na budżet.

Tab. 1. Wartość refundacji w ciągu 12 miesięcy, tj. w okresie od stycznia 2020 do grudnia 2020 — dane NFZ.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Kod EAN	Grupa limitowa	Wartość refundacji, PLN	
Palivizumab	Synagis, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml	0,5 ml	08054083006093	1073.0, Palivizumab	9 231 672,29	
	Synagis, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml	1 ml	08054083006109	1073.0, Palivizumab	26 797 671,79	
Tocilizumab	RoActemra, roztwór do wstrzykiwań, 162 mg/ml	4 amp.-strz.	05902768001075	1106.0, Tocilizumab	26 388 437,7	
	RoActemra, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.a 10 ml	05000471007046	1106.0, Tocilizumab	0	
	RoActemra, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.a 20 ml	05000471007053	1106.0, Tocilizumab	0,94	
	RoActemra, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.a 4 ml	05000471007039	1106.0, Tocilizumab	0	
	RoActemra, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.po 10 ml	05909990678259	1106.0, Tocilizumab	4 477 023,48	
	RoActemra, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.po 20 ml	05909990678266	1106.0, Tocilizumab	5 455 020,39	
	RoActemra, koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.po 4 ml	05909990678273	1106.0, Tocilizumab	3 348 381,42	
	Dazatyrib	Sprycel, tabl. powl., 100 mg	30 szt.	05909990671601	1059.0, Dazatyrib	29 424 945,26
		Sprycel, tabl. powl., 140 mg	30 szt.	05909990818655	1059.0, Dazatyrib	1 895 247,52
		Sprycel, tabl. powl., 20 mg	60 szt.	05909990621323	1059.0, Dazatyrib	1 760 201,84
Sprycel, tabl. powl., 50 mg		60 szt.	05909990621354	1059.0, Dazatyrib	4 525 437,39	
Sprycel, tabl. powl., 80 mg		30 szt.	05909990818631	1059.0, Dazatyrib	4 883 434,9	
Omalizumab	Xolair, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg	1 amp.-strzyk. 1 ml	05909990708406	1102.0, Omalizumabum	27 699 348,35	

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Kod EAN	Grupa limitowa	Wartość refundacji, PLN
	Xolair, roztwór do wstrzykiwań, 75 mg	1 amp.-stryk. 0,5 ml	05909990708376	1102.0, Omalizumabum	642 828,79
Eculizumab	Soliris, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg	1 fiol. 30 ml	05909990643776	1171.0, Ekulizumab	85 019 949,38
Sorafenibum	Nexavar, tabl. powl., 200 mg	112 szt.	05909990588169	1078.0, Sorafenib	14 935 082,07
Brentuximabum vedotinum	Adcetris, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg	1 fiol.	05909991004545	1142.0, Brentuksymab vedotin	21 280 775,47
Alemtuzumabum	Lemtrada, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 12 mg	1 fiol.	05909991088156	1160.0, Alemtuzumab	841 503,24
Certolizumabum pegol	Cimzia, roztwór do wstrzykiwań w amp.-strz., 200 mg/ml	2 amp.-strz.	05909990734894	1104.0, Certolizumab pegol	13 497 599,72
Trastuzumabum emtansinum	Kadcyla, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 100 mg	1 fiol. proszku	05902768001044	1082.1, Trastuzumab emtanzyna	25 243 763,35
	Kadcyla, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 160 mg	1 fiol. proszku	05902768001051	1082.1, Trastuzumab emtanzyna	13 048 516,13
Ranibizumab	Lucentis, roztwór do wstrzykiwań, 10 mg/ml	1 fiol. a 0,23 ml	05909990000005	1134.0, Ranibizumab	28 260 146,31
Pertuzumabum	Perjeta, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 420 mg	1 fiol.	05902768001006	1147.0, Pertuzumab	160 686 655,00
Natalizumabum	Tysabri, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg	1 fiol. po 15 ml	05909990084333	1116.0, Natalizumab	24 154 838,70

Tab. 2. Prognoza wartości refundacji nowych preparatów w ciągu 12 miesięcy.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Kod EAN	Grupa limitowa	Wartość refundacji po wprowadzeniu redukcji, PLN
Palivizumab	XXX, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml	0,5 ml	–	1073.0, Palivizumab	■

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Kod EAN	Grupa limitowa	Wartość refundacji po wprowadzeniu redukcji, PLN	
Tocilizumab	XXX, roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml	1 ml	–	1073.0, Palivizumab	██████████	
	XXX, roztwór do wstrzykiwań, 162 mg/ml	4 amp.-strz.	–	1106.0, Tocilizumab	██████████	
	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.a 10 ml	–	1106.0, Tocilizumab	█	
	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.a 20 ml	–	1106.0, Tocilizumab	████	
	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.a 4 ml	–	1106.0, Tocilizumab	█	
	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.po 10 ml	–	1106.0, Tocilizumab	████	
	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.po 20 ml	–	1106.0, Tocilizumab	████	
	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml	1 fiol.po 4 ml	–	1106.0, Tocilizumab	████	
	Dazatyrib	XXX, tabl. powl., 100 mg	30 szt.	–	1059.0, Dazatyrib	████
		XXX, tabl. powl., 140 mg	30 szt.	–	1059.0, Dazatyrib	████
XXX, tabl. powl., 20 mg		60 szt.	–	1059.0, Dazatyrib	████	
XXX, tabl. powl., 50 mg		60 szt.	–	1059.0, Dazatyrib	████	
XXX, tabl. powl., 80 mg		30 szt.	–	1059.0, Dazatyrib	████	
Omalizumab		XXX, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg	1 amp.-strzyk. 1 ml	–	1102.0, Omalizumabum	████
		XXX, roztwór do wstrzykiwań, 75 mg	1 amp.-strzyk. 0,5 ml	–	1102.0, Omalizumabum	████

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Kod EAN	Grupa limitowa	Wartość refundacji po wprowadzeniu redukcji, PLN
Eculizumab	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg	1 fiol. 30 ml	—	1171.0, Eculizumab	■
		112 szt.	—	1078.0, Sorafenib	■
Brentuximab vedotinum	XXX, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg	1 fiol.	—	1142.0, Brentuksymab vedotin	■
		1 fiol.	—	1160.0, Alemtuzumab	■
Certolizumabum pegol	XXX, roztwór do wstrzykiwań w amp.-strz., 200 mg/ml	2 amp.-strz.	—	1104.0, Certolizumab pegol	■
Trastuzumabum emtansinum	XXX, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 100 mg	1 fiol. proszku	—	1082.1, Trastuzumab emtanzyna	■
		1 fiol. proszku	—	1082.1, Trastuzumab emtanzyna	■
		1 fiol. a 0,23 ml	—	1134.0, Ranibizumab	■
Pertuzumabum	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 420 mg	1 fiol.	—	1147.0, Pertuzumab	■
Natalizumabum	XXX, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg	1 fiol. po 15 ml	—	1116.0, Natalizumab	■

Spis tabel

Tab. 1. Wartość refundacji w ciągu 12 miesięcy, tj. w okresie od stycznia 2020 do grudnia 2020 – dane NFZ.	8
Tab. 2. Prognoza wartości refundacji nowych preparatów w ciągu 12 miesięcy.	9
Tab. 3. Roczne koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności.	12

Bibliografia

- BIA Vyndaqel 2021** [redacted] Tafamidis (Vyndaqel®) w leczeniu kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej. Analiza wpływu na budżet. Warszawa, 2021.
- dane NFZ 2020** Informacja o wielkości kwoty refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN (GTIN) lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN (GTIN) za okres styczeń-grudzień 2020 r. <https://ezdrowie.gov.pl/portal/home/zdrowe-dane/zestawienia/komunikat-o-refundacji-aptecznej-programach-lekowych-i-chemioterapii-i-xii-2020>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2015** GaBi. Biosimilars of ranibizumab. Posted 30/10/2015. <https://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-ranibizumab>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2016a** GaBi. Biosimilars of tocilizumab. Posted 29/07/2016. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-tocilizumab>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2016b** GaBi. Biosimilars of natalizumab. Posted 11/11/2016. <https://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-natalizumab>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2017a** GaBi. Biosimilars of palivizumab. Posted 01/12/2017. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-palivizumab>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2017b** GaBi. Biosimilars of certolizumab pegol. Posted 21/04/2017. <https://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-certolizumab-pegol>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2019a** GaBi. Generics applications under review by EMA - July 2019 Posted 02/08/2019. <http://www.gabionline.net/Generics/General/Generics-applications-under-review-by-EMA-July-2019>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2019b** GaBi. BiosanaPharma starts phase I trial for omalizumab biosimilar in Australia Posted 24/05/2019. <http://www.gabionline.net/Biosimilars/Research/BiosanaPharma-starts-phase-I-trial-for-omalizumab-biosimilar-in-Australia>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GaBI 2019c** GaBi. Biosimilars of pertuzumab. Posted 05/04/2019. <https://www.gabionline.net/Biosimilars/General/Biosimilars-of-pertuzumab>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GABIONLINE 2017** Generics and Biosimilar Initiative. Overview of the patent expiry of (non-)tyrosine kinase inhibitors approved for clinical use in the EU and the US. Generics and Biosimilars Initiative Journal (GaBI Journal). 2017;6(2):89-96. <http://gabi-journal.net/overview-of-the-patent-expiry-of-non-tyrosine-kinase-inhibitors-approved-for-clinical-use-in-the-eu-and-usa.html>, ostatni dostęp: 2021.05.20
- GABIONLINE 2018** Generics and Biosimilar Initiative. Patent expiry dates for biologicals: 2018 update. <http://gabi-journal.net/patent-expiry-dates-for-biologicals-2018-update.html>, ostatni dostęp: 2021.05.20
<http://gabi-journal.net/patent-expiry-dates-for-biologicals-2018-update.html>
- Obwieszczenie MZ** Ministerstwo Zdrowia. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 kwietnia 2021 r. W sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 ma-

Ustawa refundacyjna 2011

rzec 2021. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-21-kwietnia-2021-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-maja-2021-r>, ostatni dostęp: 2021.05.20 r.

Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 Nr 122 poz. 696).