



Zanubrutynib (Brukinsa[®]) w leczeniu makroglobulinemii Waldenströma

Analiza racjonalizacyjna

Warszawa, 2022

Autorzy

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Wkład pracy

[REDACTED]: koncepcja analizy, opracowanie kalkulatora, analiza danych, raport końcowy,
[REDACTED]: koncepcja analizy, kontrola wszystkich etapów,
[REDACTED]: kontrola wszystkich etapów

Konflikt interesów

Opracowanie wykonane na zlecenie i finansowane przez firmę [REDACTED]. Autorzy nie zgłaszają innego rodzaju konfliktu interesów.

Dane kontaktowe

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

Zamawiający

[REDACTED]
[REDACTED]

Spis treści

Spis treści.....	2
Wykaz skrótów i akronimów	3
1 Definicja problemu	4
2 Przedmiot analizy	7
3 Metodyka.....	8
4 Wyniki	9
5 Podsumowanie	11
Spis tabel	12
Bibliografia	13

Wykaz skrótów i akronimów

BIA	Analiza wpływu na budżet (ang. <i>budget impact analysis</i>)
BR	Schemat chemioterapii bendamustyna + rytuksymab
DRC	Schemat chemioterapii deksametazon + rytuksymab + cyklofosfamid
WM	Makroglobulinemia Waldenströma (ang. Waldenström's macroglobulinemia)
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia



1 Definicja problemu

Zgodnie z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 463) analiza racjonalizacyjna powinna być przedkładana 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 objęcie refundacją spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet.

W zakresie rozwiązań dotyczących refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych (w wąskim rozumieniu tych zapisów) można zidentyfikować następujące rozwiązania:

1. likwidacja jednej lub więcej grup limitowych,
2. zmiana definicji jednej lub więcej grup limitowych (redukcja liczby preparatów objętych grupą limitową, utworzenie nowej grupy limitowej, połączenie grup limitowych),
3. redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych,
4. redukcja ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych niestanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych w sposób, który spowodowałby, że leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyroby medyczne, których dotyczyłaby redukcja ceny detalicznej stałyby się podstawą limitów w swoich grupach limitowych,
5. zmiana poziomu odpłatności pacjenta dla grupy limitowej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych na wyższy w stosunku do obecnie obowiązującego.

Analizując wymienione wyżej warianty można wyszczególnić rozwiązania, w których uwolnienie środków publicznych wiąże się ze wzrostem kosztów po stronie:

- pacjentów,
- podmiotów odpowiedzialnych,
- obu wymienionych wyżej grup.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie pacjentów należą rozwiązania opisane w punktach 1 i 5. Również rozwiązanie opisane w punkcie 2 związane z redukcją liczby preparatów objętych grupą limitową niesie ze sobą znaczne ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta.

Do rozwiązań wiążących się ze wzrostem kosztów po stronie podmiotów odpowiedzialnych należy rozwiązanie opisane w punkcie 2 (wycofanie preparatu), przy czym należy podkreślić, że w tym przypadku również istnieje ryzyko zwiększenia kosztów po stronie pacjenta (np.

w przypadku, w którym pacjenci są przywiązani do leku, który został skreślony z listy refundacyjnej).

Pozostałe zaproponowane rozwiązania prowadzą w konsekwencji do obniżenia limitu w grupie limitowej (lub zwiększenie poziomu odpłatności pacjenta), przy czym konsekwencje (wzrost kosztów tj. w tym wypadku redukcja zysków) w założeniu powinny dotyczyć głównie podmiotów odpowiedzialnych zakładając, że pacjenci z definicji będą wybierali leki o niższych cenach. W przypadku istnienia innego niż cena mechanizmu wpływającego na preferencje pacjentów, przywiązanie do poszczególnych preparatów, których ceny są wyższe od preparatów stanowiących limit w grupie, przy obniżonym limicie będzie skutkowało zwiększeniem kosztów również po stronie pacjenta.

Opracowanie mechanizmu bazującego na rozwiązaniu wyłącznie z zakresu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego lub wyrobów medycznych, który spowoduje uwolnienie środków publicznych bez negatywnych konsekwencji dla pacjentów jest ograniczone. Jedynym mechanizmem, który nie powinien wpływać na wzrost kosztów po stronie pacjentów jest obniżenie cen wszystkich preparatów refundowanych w obrębie danej grupy limitowej. Przy czym należy podkreślić, że obniżenie cen wszystkich preparatów może nieproporcjonalnie w stosunku do cen detalicznych niektórych preparatów zmniejszyć limit w stopniu skutkującym wzrostem kosztów po stronie pacjenta.

Mając na uwadze opisane wyżej mechanizmy dot. uwolnienia środków publicznych należy podkreślić, że z praktycznego punktu widzenia, obniżenie ceny preparatu znajdującego się obecnie na liście refundacyjnej bądź usunięcie go z tej listy jest utrudnione ze względu na obowiązujące przepisy ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. W myśl ustawy (art. 33):

1. *Minister właściwy do spraw zdrowia uchyla decyzję administracyjną o objęciu refundacją leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, w przypadku:*
 - 1) *stwierdzenia braku deklarowanej skuteczności terapeutycznej;*
 - 2) *stwierdzenia ryzyka stosowania niewspółmiernego do efektu terapeutycznego;*
 - 3) *podważenia wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w art. 12 pkt 3-10;*
 - 4) *gdy zobowiązanie, o którym mowa w art. 25 pkt 4, nie zostanie dotrzymane w zakresie dotyczącym zapewnienia ciągłości dostaw lub rocznej wielkości dostaw, i nastąpi niezaspokojenie potrzeb świadczeniobiorców.*

Minister Zdrowia podejmuje również decyzję o skróceniu czasu obowiązywania decyzji o refundacji lub zmianie ceny urzędowej w oparciu o wniosek, do którego złożenia uprawniony jest Wnioskodawca (podmiot odpowiedzialny, przedstawiciel podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne, wytwórca wyrobów medycznych, jego autoryzowany przedstawiciel, dystrybutor albo importer, w rozumieniu ustawy z dnia 20 maja 2010 r. o wyrobach medycznych (Dz. U. Nr 107, poz. 679), a także podmiot działający na rynku spożywczym).

W związku z powyższym, wykonanie analizy racjonalizacyjnej pokazującej rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego,

wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, ograniczają przepisy, które warunkują uwolnienie tych środków decyzją wielu podmiotów, na które Wnioskodawca nie ma wpływu.

Ograniczenia formalne oraz trudne do przewidzenia mechanizmy i strategie rynkowe poszczególnych podmiotów, skutkują przyjęciem szeregu założeń. Stąd zaproponowane rozwiązanie racjonalizacyjne, niezależnie od jego typu, powinno być interpretowane zawsze w kontekście powyższych ograniczeń i przyjętych założeń.

2 Przedmiot analizy

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia wykazała, że finansowanie ze środków publicznych zanubrutynibu (Brukinsa®) nowego programu lekowego „Leczenie makroglobulinemii Waldenströma (ICD-10: C88.0)”, związane jest z dodatkowymi obciążeniami budżetowymi (w porównaniu z BR i DRC). Program Lekowy ma obejmować [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Celem niniejszej analizy jest przedstawienie rozwiązania, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków finansowych płatnika publicznego w wysokości odpowiadającej dodatkowym kosztom finansowania zanubrutynibu w leczeniu makroglobulinemii Waldenströma w kolejnych latach.

3 Metodyka

W niniejszej analizie przedstawiono warianty oszacowań dotyczące wpływu na budżet płatnika publicznego związane z finansowaniem terapii zanubrutynibem (Brukinsa®) w ramach programu lekowego w leczeniu makroglobulinemii Waldenströma. Szacunki te były przedmiotem analizy wpływu na budżet (BIA) dołączonej do wniosku. [REDACTED]

Analizę pokazującą rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, oparto na mechanizmie opisanym w pkt. 3 rozdziału 1, tj. założeniu redukcji ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych (redukcja limitu detalicznego).

W analizie wykorzystano oszczędności wynikające z wprowadzenia odpowiedników dla leków: cetuksymab (Erbitux®), dazatynib (Sprycel®), eculizumabum (Soliris®). Wybór substancji wynika z terminu wygaśnięcia praw ochrony patentowej, w związku z czym oszczędności w przypadku większości wyżej wymienionych leków będą generowane już od 2022 roku (GABI).

Wymienione leki są stosowane w ramach programu lekowego, w związku z czym są refundowane w 100% (kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatny). W związku z powyższym, wprowadzenie tańszych odpowiedników tych leków spowoduje obniżenie limitu finansowania ze środków publicznych nie powodując jednocześnie żadnych dodatkowych obciążeń dla świadczeniobiorców. W analizie przyjęto założenie zgodne z art. 13 pkt. 6 Ustawy refundacyjnej, który mówi, że urzędowa cena zbytu pierwszego nowego odpowiednika w grupie limitowej nie może być wyższa niż 75% urzędowej ceny zbytu jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu. Mając na uwadze specyfikę refundacji leków w programach lekowych (leki wydawane bezpłatnie), należy założyć, że wprowadzenie tańszego odpowiednika spowoduje automatyczne, natychmiastowe obniżenie ceny wszystkich leków refundowanych w obrębie grupy limitowej do poziomu ceny wprowadzonego odpowiednika - w tym wypadku oznacza to co najmniej 25% redukcję obowiązującej ceny urzędowej tych leków.

Analizę przeprowadzono dla horyzontu czasowego, analogicznego dla horyzontu analizy wpływu na system opieki zdrowotnej (BIA 2022). W analizie wykorzystano najnowsze dostępne dane dotyczące kosztów poniesionych przez płatnika na finansowanie leków za okres 12 mies., tj. od marca 2021 do lutego 2022 (Komunikat DGL). [REDACTED]

4 Wyniki

Koszty refundacji cetuksymabu (Erbitux[®]), dazatynibu (Sprycel[®]) i eculizumabumu (Soliris[®]) za ostatnie 12 mies. przedstawiono w Tab. 1.

Zaproponowany mechanizm pozwoli na redukcję kosztów refundacji znacznie przekraczającą wzrost kosztów wynikających z refundacji terapii zanubrutynibem we wnioskowanym wskazaniu (Tab. 2, **Błąd! Nie można odnaleźć źródła odwołania.**).

Tab. 1. Koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności (Komunikat DGL).

Substancja czynna (nazwa leku)	Redukcja ceny	Kwota refundacji za ostatnie 12 mies.	Kwota refundacji po redukcji ceny	Oszczędności
Cetyksumab (Erbitux [®])	25%	82 412 825	61 809 619	20 603 206
Dazatynib (Sprycel [®])	25%	40 204 753	30 153 565	10 051 188
Ekulizumab (Soliris [®])	25%	121 585 720	91 189 290	30 396 430

		49 550 415	36 642 608
			86 193 023

	53 646 662	45 334 687	98 981 350
	45 974 638	29 074 568	75 049 206

5 Podsumowanie

Wygenerowane potencjalne oszczędności przedstawione w rozdziale 4 będą wystarczające do pokrycia obciążeń budżetowych związanych z finansowaniem terapii zanubrutynibem (Brukinsa®) we wnioskowanym wskazaniu.

Spis tabel

Tab. 1. Koszty refundacji leków oraz prognozowane oszczędności (Komunikat DGL).9

	9
.....	9

Bibliografia

- [REDACTED]**
- GABI** <http://gabi-journal.net/patent-expiry-dates-for-biologicals-2016-update.html>,
<http://gabi-journal.net/overview-of-the-patent-expiry-of-non-tyrosine-kinase-inhibitors-approved-for-clinical-use-in-the-eu-and-usa.html> [dostęp: 30.05.2022].
- Komunikat DGL** Komunikaty Departamentu Gospodarki Lekami (DGL). Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii w latach 2021-2022 <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali> [dostęp: 30.05.2022].
- Ustawa refundacyjna 2011** 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).