



---

# SPRAWOZDANIE Z PRZEBIEGU NEGOCJACJI REFUNDACYJNYCH

---

Produktu leczniczego **Xenpozume** (*olipudaza alfa*)  
we wskazaniu: u dzieci i młodzieży oraz dorosłych jako  
enzymatyczna terapia zastępcza w leczeniu objawów niedoboru  
kwaśnej sfingomielinazy (ang. Acid Sphingomyelinase Deficiency,  
ASMD) typu A/B lub B, niezwiązanych z ośrodkowym układem  
nerwowym (OUN) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych  
z niedoborem kwaśnej sfingomielinazy (ASMD) typu A/B i B (ICD10:  
E75.241, E75.244)”



WARSZAWA, 14 MARCA 2024 ROKU

Komisja Ekonomiczna przeprowadziła negocjacje cenowe w przedmiocie objęcia refundacją i ustalenia warunków refundacji technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności (art. 24 ust. 1 pkt 1b ustawy o refundacji) produktu leczniczego **Xenpozyme**, we wskazaniu: u dzieci i młodzieży oraz dorosłych jako enzymatyczna terapia zastępcza w leczeniu objawów niedoboru kwaśnej sfingomielinazy (ang. Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) typu A/B lub B, niezwiązanych z ośrodkowym układem nerwowym (OUN) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z niedoborem kwaśnej sfingomielinazy (ASMD) typu A/B i B (ICD10: E75.241, E75.244)”.

*Negocjacje dotyczyły dopuszczonych do obrotu następujących prezentacji leku:*

- *Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 20 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991490508,*
- *Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 4 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991513696.*

Działając na podstawie art. 36 ust. 6 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, kierując się zasadami: gospodarności, rzetelności, obiektywizmu, legalizmu oraz równoważenia interesów świadczeniobiorców, podmiotów, z którymi są prowadzone negocjacje oraz płatnika świadczeń zdrowotnych, po przeprowadzeniu negocjacji cenowych z Wnioskodawcą w dniach: 15 stycznia 2024 r., 23 stycznia 2024 r., 12 lutego 2024 r., z uwzględnieniem:

1. Wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności ustalonego na dzień 15 marca 2023 r. na podstawie art. 40a ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, zasad tworzenia wykazu technologii medycznych o wysokim poziomie innowacyjności, podsumowania wyników dla technologii lekowych zakwalifikowanych do oceny w ramach opracowania wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, listą technologii lekowych zakwalifikowanych do oceny, danych dostępnych na stronie internetowej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w części dotyczącej wnioskowanej technologii;

2. Raportu oceny technologii o wysokiej innowacyjności w ramach Funduszu Medycznego za rok 2021 Nr 32/2023 z dnia 23 lutego 2023 r. Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji „Xenpozyme (olipudaza alfa) we wskazaniu: u dzieci i młodzieży oraz dorosłych jako enzymatyczna terapia zastępcza w leczeniu objawów niedoboru kwaśnej sfingomielinazy (ang. Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) typu A/B lub B, niezwiązanych z ośrodkowym układem nerwowym (OUN)”;

3. maksymalnej i minimalnej CZN na terytorium RP w okresie roku przed złożeniem wniosku dla danej wielkości opakowania i dawki. Według danych Wnioskodawcy maksymalna i minimalna cena zbytu netto uzyskana na terytorium RP w okresie roku przed złożeniem wniosku wynosiła:

dla Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 20 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991490508 i dla Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 4 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991513696 –

4. minimalnej i maksymalnej CZN uzyskanej w poszczególnych krajach UE i EFTA w okresie roku przed złożeniem wniosku dla danej wielkości opakowania i dawki.

Xenpozyme 20 mg: według danych Wnioskodawcy produkt jest dostępny w obrocie w 10 krajach UE i EFTA na 30 wskazanych:

W 3 krajach UE i EFTA na 10 w/w, w których produkt pozostaje w obrocie w dawce 20 mg, objęty jest refundacją:

Xenpozyme 4mg: według danych Wnioskodawcy produkt jest dostępny w obrocie w 2 krajach UE i EFTA na 30 wskazanych:

Na dzień rozstrzygnięcia KE Wnioskodawca nie przedstawił nowych informacji w przedmiotowym zakresie.

5. informacji o rabatach i upustach oraz porozumieniach cenowych w innych państwach UE i EFTA

Na dzień podjęcia uchwały Wnioskodawca nie przedstawił nowych informacji w tym zakresie.

Komisja dokonała krytycznej analizy informacji przekazanych przez Wnioskodawcę we wnioskach we wszystkich krajach UE i EFTA, gdzie produkt został objęty refundacją.

Dane Komisji w zakresie ogólnych zasad refundacji leków w poszczególnych krajach EU/EFTA oraz mechanizmów ustawowych, które potencjalnie mogą wpływać na obniżenie kosztów terapii tj. clawback – mechanizm, zgodnie z którym pieniądze już zapłacone za usługi mają zostać zwrócone w szczególnych okolicznościach lub zdarzeniach określonych w umowie (np. przekroczenie max poziomu wydatków, jest to mechanizm podobny do ustalonego w Polsce tzw. payback ustawowego)

6. kosztu terapii przy zastosowaniu wnioskowanego produktu (uwzględniając dawkowanie zgodnie z ChPL i CHB/mg stanowiącą wynik negocjacji – \_\_\_\_\_ dla leku Wnioskodawcy oraz różniące się założenia Stron negocjacji odnośnie średniej masy ciała osoby dorosłej i dzieci, leczonych w programie).  
Oszacowany roczny koszt olipudazy alfa, przyjmując założenie Wnioskodawcy -

Oszacowany roczny koszt olipudazy alfa, przyjmując założenie Komisji –

Oszacowany roczny koszt olipudazy alfa, przyjmując założenie Wnioskodawcy

Oszacowany roczny koszt olipudazy alfa, przyjmując założenie Komisji –

7. wpływu na budżet płatnika publicznego nieograniczonego CAP-em wydatków płatnika publicznego, proponowanym przez KE w toku negocjacji na liczbie mg leku z BIA Wnioskodawcy.

Wydatki płatnika na lek Wnioskodawcy, uwzględniając proponowaną przez Wnioskodawcę

leku ustaloną w wyniku negocjacji i oszacowane przez Wnioskodawcę zużycie leku w I i II roku obowiązywania decyzji odpowiednio

Wpływ na budżet płatnika publicznego terapii przy założeniu włączenia do programu całej populacji (a nie stopniowo) może wynieść: przyjmując założenia Wnioskodawcy dotyczące średniej masy ciała pacjenta dla poszczególnych subpopulacji

w I roku,

w II roku i każdym następnym vs. przyjmując założenia Komisji dotyczące średniej masy ciała dla poszczególnych subpopulacji

I roku,

w II roku i każdym następnym.

Komisja stoi na stanowisku, iż miernikiem wiarygodności założeń Wnioskodawcy w zakresie średniej masy ciała pacjentów w poszczególnych subpopulacjach leczonych w programie, stopniowego włączania pacjentów do programu i oszacowania Wnioskodawcy wpływu na wydatki płatnika publicznego w I i II roku objęcia refundacją wnioskowanego produktu jest

podważa wiarygodność oszacowań

Wnioskodawcy BIA i jego założeń przyjętych w odniesieniu do średniej masy ciała pacjenta w poszczególnych subpopulacjach, ilości pacjentów przyjętych w analizie podstawowej BIA Wnioskodawcy, tempa włączania pacjentów do programu.

8. wartości progu kosztowego uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość ustalonego w wysokości trzykrotności PKB na jednego mieszkańca aktualnie wynoszącego – 190 380,00 zł, obowiązującego w Polsce.

Treść art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy o refundacji *expressis verbis* wskazuje, że w toku negocjacji Komisja Ekonomiczna bierze pod uwagę wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jego jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto, a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia.

Koszt rocznej terapii w dawce podtrzymującej osoby dorosłej leczonej w programie wynosi: przyjmując oszacowanie Wnioskodawcy versus przyjmując oszacowanie Komisji.

Koszt terapii rocznej osoby dorosłej leczonej w programie,

Koszt rocznej terapii w dawce podtrzymującej dziecka leczonego w programie wynosi: przyjmując oszacowanie Wnioskodawcy versus przyjmując oszacowanie Komisji.

Koszt terapii rocznej dziecka leczonego w programie

9) potrzebę równoważenia interesów świadczeniobiorców i przedsiębiorców zajmujących się wytwarzaniem lub obrotem lekami, środkami spożywczymi specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobami medycznymi, możliwości płatnicze podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz działalność naukowo-badawczą i inwestycyjną Wnioskodawcy w zakresie związanym z ochroną zdrowia na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej oraz w innych państwach członkowskich Unii Europejskiej lub państwach członkowskich Europejskiego Porozumienia o Wolnym Handlu (EFTA),

- wobec braku porozumienia z Wnioskodawcą w każdym z negocjowanych obszarów Komisja Ekonomiczna nie rekomendowała objęcia refundacją produktu leczniczego:

1) Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 20 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991490508,

2) Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 4 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991513696,

we wskazaniu : u dzieci i młodzieży oraz dorosłych jako enzymatyczna terapia zastępcza w leczeniu objawów niedoboru kwaśnej sfingomielinazy (ang. Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) typu A/B lub B, niezwiązanych z ośrodkowym układem nerwowym (OUN) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z niedoborem kwaśnej sfingomielinazy (ASMD) typu A/B i B (ICD10: E75.241, E75.244)”.

Przed przystąpieniem do negocjacji Komisja Ekonomiczna przeanalizowała cały dostępny jej materiał dotyczący przedmiotu postępowania, ze szczególnym uwzględnieniem skuteczności, bezpieczeństwa i warunków ekonomicznych dotyczących wnioskowanej technologii.

Przebieg negocjacji cenowych	
<i>Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 4 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991513696</i>	<i>Xenpozyme, olipudaza alfa, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 20 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN 05909991490508</i>
Warunki z wniosku refundacyjnego 20.12.2023 r.	
CZNI <u>Instrument dzielenia ryzyka:</u>	CZN <u>Instrument dzielenia ryzyka:</u>
Pierwsze spotkanie negocjacyjne 15.01.2024 r.	
Propozycja Wnioskodawcy z 15.01.2024 r.	
Propozycja Zespołu Negocjacyjnego z 15.01.2024 r.	

CZN 121,50 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

a) CAP na ilości substancji czynnej finansowanej w programie: dla I roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, dla II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, po przekroczeniu którego Wnioskodawca dostarcza produkt w cenie 1,08 za opakowanie,  
b) RSS kliniczny: dla każdego pacjenta wyłączonego z programu zgodnie z kryteriami wyłączenia w opisie programu Wnioskodawca zwraca do płatnika koszty poniesione na zakup leku w okresie od ostatniej kwalifikacji/weryfikacji skuteczności dokonanej przez Zespół Koordynacyjny do momentu wyłączenia.

CZN 607,50 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

a) CAP na ilości substancji czynnej finansowanej w programie: dla I roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, dla II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, po przekroczeniu którego Wnioskodawca dostarcza produkt w cenie 5,40 zł za opakowanie,  
b) RSS kliniczny: dla każdego pacjenta wyłączonego z programu zgodnie z kryteriami wyłączenia w opisie programu Wnioskodawca zwraca do płatnika koszty poniesione na zakup leku w okresie od ostatniej kwalifikacji/weryfikacji skuteczności dokonanej przez Zespół Koordynacyjny do momentu wyłączenia.

Drugie spotkanie negocjacyjne  
23.01.2024 r.

Propozycja Wnioskodawcy z 23.01.2024 r.

Zgoda w zakresie zmiany spójnika z "lub" na "i" w dwóch miejscach opisu kryteriów kwalifikacji w sekcji świadczeniobiorcy dla dzieci Pkt 1.1.podpkt 2 i Pkt 1.2.podpkt 2 dla dorosłych. Wnioskodawca deklaruje gotowość do odniesienia się do propozycji KE w zakresie ceny, kosztów oraz RSS, a także uwag do opisu programu do dnia 1 lutego 2024 r.

Zgoda w zakresie zmiany spójnika z "lub" na "i" w dwóch miejscach opisu kryteriów kwalifikacji w sekcji świadczeniobiorcy dla dzieci Pkt 1.1.podpkt 2 i Pkt 1.2.podpkt 2 dla dorosłych. Wnioskodawca deklaruje gotowość do odniesienia się do propozycji KE w zakresie ceny, kosztów oraz RSS, a także uwag do opisu programu do dnia 1 lutego 2024 r.

Propozycja Zespołu Negocjacyjnego z 23.01.2024 r.

CZN 2 400,00 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

a) CHB<139,10 zł,  
b) RSS kliniczny: dla każdego pacjenta wyłączonego z programu zgodnie z kryteriami wyłączenia w opisie programu Wnioskodawca zwraca do płatnika koszty poniesione na zakup leku w okresie od ostatniej kwalifikacji/weryfikacji skuteczności dokonanej przez zespół koordynacyjny do momentu wyłączenia,  
c) CAP na ilości substancji czynnej finansowanej w programie: dla I roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, dla II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, po przekroczeniu którego Wnioskodawca dostarcza produkt w cenie 1,08 za opakowanie.

CZN 12 000,00 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

a) CHB<695,50 zł,  
b) RSS kliniczny: dla każdego pacjenta wyłączonego z programu zgodnie z kryteriami wyłączenia w opisie programu Wnioskodawca zwraca do płatnika koszty poniesione na zakup leku w okresie od ostatniej kwalifikacji/weryfikacji skuteczności dokonanej przez Zespół Koordynacyjny do momentu wyłączenia,  
c) CAP na ilości substancji czynnej finansowanej w programie: dla I roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, dla II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej łącznie dla obu prezentacji leku, po przekroczeniu którego Wnioskodawca dostarcza produkt w cenie 5,40 zł za opakowanie.

**Uwagi KE do opisu programu:** w ocenie Komisji: ocena skuteczności leczenia powinna mieć miejsce po 6 miesiącach, skuteczność powinna być weryfikowana przez zespół koordynacyjny co 6 miesięcy.  
Rozpoznanie ASMD będzie dokonywane na podstawie braku lub niedoboru enzymu i na podstawie badania genetycznego.  
W opisie programu:  
- w odniesieniu do dzieci  
1.1. podpkt 2 spójnik „lub” zastąpić spójnikiem „i”  
- w odniesieniu do dorosłych  
1.2. podpkt 2 spójnik „lub” zastąpić spójnikiem „i”  
Kryteria wyłączenia, weryfikacji należy dokonywać co 6 miesięcy.  
Ocena skuteczności leczenia w ramach Programu:  
Pkt 3 wskaźniki efektywności powinny być określane co pół roku.  
Do oceny skuteczności leczenia wprowadzenie wskaźnika badania jakości życia, co 6 miesięcy, wg skal zaproponowanych przez Wnioskodawcę.  
Zespół oczekuje odniesienia się do propozycji cenowo - kosztowej, RSS do 25.01.2024 r. oraz uwag do opisu Programu do dnia 1 lutego 2024 r.

**Uwagi KE do opisu programu:** w ocenie Komisji: ocena skuteczności leczenia powinna mieć miejsce po 6 miesiącach, skuteczność powinna być weryfikowana przez zespół koordynacyjny co 6 miesięcy.  
Rozpoznanie ASMD będzie dokonywane na podstawie braku lub niedoboru enzymu i na podstawie badania genetycznego.  
W opisie programu:  
- w odniesieniu do dzieci  
1.1. podpkt 2 spójnik „lub” zastąpić spójnikiem „i”  
- w odniesieniu do dorosłych  
1.2. podpkt 2 spójnik „lub” zastąpić spójnikiem „i”  
Kryteria wyłączenia, weryfikacji należy dokonywać co 6 miesięcy.  
Ocena skuteczności leczenia w ramach Programu:  
Pkt 3 wskaźniki efektywności powinny być określane co pół roku.  
Do oceny skuteczności leczenia wprowadzenie wskaźnika badania jakości życia, co 6 miesięcy, wg skal zaproponowanych przez Wnioskodawcę.  
Zespół oczekuje odniesienia się do propozycji cenowo - kosztowej, RSS do 25.01.2024 r. oraz uwag do opisu Programu do dnia 1 lutego 2024 r.

Trzecie spotkanie negocjacyjne  
12.02.2024 r.

Propozycja Wnioskodawcy z 12.02.2024 r.

Propozycje Zespołu Negocjacyjnego z 12.02.2024 r.  
Propozycja I

CZN 2 691,20 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

- a) CHB 278,20 zł ( 69,55 zł/mg),  
b) CAP na ilościach mg Xenpozyme w obu prezentacjach łącznie zrefundowanych w 1 i 2 roku z analizy Wnioskodawcy wpływu na budżet tj. w 1 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej i w 2 r. obowiązywania decyzji refundacyjnej, po przekroczeniu których następuje zwrot do płatnika kosztów refundacji ponad CAP,  
c) RSS kliniczny: zwrot kosztów poniesionych na rzecz każdego pacjenta wyłączonego z programu w oparciu o kryteria z pkt 3 podpunkt 1-6 opisu programu z wyłączeniem pacjentów wskazanych w podpunkcie 5 kryteriów wyłączenia w okresie od ostatniej kwalifikacji Zespołu Koordynacyjnego do momentu wyłączenia, przy założeniu wymogu oceny skuteczności leczenia w ramach Programu przez Zespół Koordynacyjny co 6 miesięcy i pierwszej ocenie skuteczności i bezpieczeństwa po 6 miesiącach leczenia.  
Pojęcie "leczenia skutecznego" - jeżeli po 6 miesiącach i każdych kolejnych 6 miesiącach w stosunku do wartości wyjściowych nie uzyska się redukcji objętości śledziony o 40% i/lub nie uzyska redukcji objętości wątroby o 28% - zwrot kosztów leku.

CZN 13 456,00 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

- a) CHB < 1 391 zł (69,55 zł/mg),  
b) CAP na ilościach mg Xenpozyme w obu prezentacjach łącznie zrefundowanych w 1 i 2 roku z analizy Wnioskodawcy wpływu na budżet tj. w 1 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej i w 2 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej, po przekroczeniu których następuje zwrot do płatnika kosztów refundacji ponad CAP,  
c) RSS kliniczny: zwrot kosztów poniesionych na rzecz każdego pacjenta wyłączonego z programu w oparciu o kryteria z pkt 3 podpunkt 1-6 opisu programu z wyłączeniem pacjentów wskazanych w podpunkcie 5 kryteriów wyłączenia w okresie od ostatniej kwalifikacji Zespołu Koordynacyjnego do momentu wyłączenia, przy założeniu wymogu oceny skuteczności leczenia w ramach Programu przez Zespół Koordynacyjny co 6 miesięcy i pierwszej ocenie skuteczności i bezpieczeństwa po 6 miesiącach leczenia.  
Pojęcie "leczenia skutecznego" - jeżeli po 6 miesiącach i każdych kolejnych 6 miesiącach w stosunku do wartości wyjściowych nie uzyska się redukcji objętości śledziony o 40% i/lub nie uzyska redukcji objętości wątroby o 28% - zwrot kosztów leku.

**Propozycja II**

CZN 2 800,00 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

- a) CHB < 302,00 (75,50 zł/mg),  
b) CAP na ilościach mg Xenpozyme w obu prezentacjach łącznie zrefundowanych w 1 i 2 roku z analizy Wnioskodawcy wpływu na budżet tj. w 1 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej i w 2 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej, po przekroczeniu których następuje zwrot do płatnika kosztów refundacji ponad CAP,  
c) RSS kliniczny: zwrot kosztów poniesionych na rzecz każdego pacjenta wyłączonego z programu w oparciu o kryteria z pkt 3 podpunkt 1-6 opisu programu z wyłączeniem pacjentów wskazanych w podpunkcie 5 kryteriów wyłączenia w okresie od ostatniej kwalifikacji Zespołu Koordynacyjnego do momentu wyłączenia, przy założeniu wymogu oceny skuteczności leczenia w ramach Programu przez Zespół Koordynacyjny co 6 miesięcy i pierwszej oceny skuteczności i bezpieczeństwa po 12 miesiącach.  
Pojęcie "leczenia skutecznego" - jeżeli po 12 miesiącach i każdych kolejnych 6 miesiącach nie uzyska się w stosunku do wartości wyjściowych redukcji objętości śledziony o 40% i/lub nie uzyska redukcji objętości wątroby o 28% zwrot kosztów leku.

CZN 14 000,00 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

- a) CHB < 1510,00 (75,50 zł/mg),  
b) CAP na ilościach mg Xenpozyme w obu prezentacjach łącznie zrefundowanych w 1 i 2 roku z analizy Wnioskodawcy wpływu na budżet tj. w 1 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej i w 2 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej, po przekroczeniu których następuje zwrot do płatnika kosztów refundacji ponad CAP,  
c) RSS kliniczny: zwrot kosztów poniesionych na rzecz każdego pacjenta wyłączonego z programu w oparciu o kryteria z pkt 3 podpunkt 1-6 opisu programu z wyłączeniem pacjentów wskazanych w podpunkcie 5 kryteriów wyłączenia w okresie od ostatniej kwalifikacji Zespołu Koordynacyjnego do momentu wyłączenia, przy założeniu wymogu oceny skuteczności leczenia w ramach Programu przez Zespół Koordynacyjny co 6 miesięcy i pierwszej oceny skuteczności i bezpieczeństwa po 12 miesiącach.  
Pojęcie "leczenia skutecznego" - jeżeli po 12 miesiącach i każdych kolejnych 6 miesiącach nie uzyska się w stosunku do wartości wyjściowych redukcji objętości śledziony o 40% i/lub nie uzyska redukcji objętości wątroby o 28% zwrot kosztów leku.

**Propozycja III**



CZN 2800,00 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

- a) CHB<302,00 zł (75,50 zł/mg),  
b) CAP na ilościach mg Xenpozyme w obu prezentacjach łącznie zrefundowanych w 1 i 2 roku z analizy Wnioskodawcy wpływu na budżet tj. w 1 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej i w 2 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej, po przekroczeniu których następuje zwrot do płatnika kosztów refundacji ponad CAP,  
c) RSS kliniczny: zwrot kosztów poniesionych na rzecz każdego pacjenta wyłączonego z programu w oparciu o kryteria z pkt 3 podpunkt 1-6 opisu programu z wyłączeniem pacjentów wskazanych w podpunkcie 5 kryteriów wyłączenia w okresie od ostatniej kwalifikacji Zespołu Koordynacyjnego do momentu wyłączenia przy założeniu wymogu oceny skuteczności leczenia w ramach Programu przez Zespół Koordynacyjny co 6 miesięcy i pierwszej oceny skuteczności i bezpieczeństwa po 12 miesiącach.  
Pojęcie "leczenia skutecznego" - jeżeli po 12 mc i każdych kolejnych 6 miesiącach nie uzyska się w stosunku do wartości wyjściowych redukcji objętości śledziony o 40% i/lub nie uzyska redukcji objętości powiększenia wątroby o 28%,  
d) propozycja limitu wydatków rocznych na pacjenta w programie 381 000,00 zł (około 6 PKB/1mieszkańca) po przekroczeniu którego następuje zwrot refundacji poniesionej ponad ustalony limit.

CZN 14 000,00 zł

Instrument dzielenia ryzyka:

- a) CHB<1510,00 zł (75,50 zł/mg),  
b) CAP na ilościach mg Xenpozyme w obu prezentacjach łącznie zrefundowanych w 1 i 2 roku z analizy Wnioskodawcy wpływu na budżet tj. w 1 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej i w 2 roku obowiązywania decyzji refundacyjnej, po przekroczeniu których następuje zwrot do płatnika kosztów refundacji ponad CAP,  
c) RSS kliniczny: zwrot kosztów poniesionych na rzecz każdego pacjenta wyłączonego z programu w oparciu o kryteria z pkt 3 podpunkt 1-6 opisu programu z wyłączeniem pacjentów wskazanych w podpunkcie 5 kryteriów wyłączenia w okresie od ostatniej kwalifikacji Zespołu Koordynacyjnego do momentu wyłączenia przy założeniu wymogu oceny skuteczności leczenia w ramach Programu przez Zespół Koordynacyjny co 6 miesięcy i pierwszej oceny skuteczności i bezpieczeństwa po 12 miesiącach.  
Pojęcie "leczenia skutecznego" - jeżeli po 12 miesiącach i każdych kolejnych 6 miesiącach nie uzyska się w stosunku do wartości wyjściowych redukcji objętości śledziony o 40% i/lub nie uzyska się redukcji powiększenia wątroby o 28%,  
d) propozycja limitu wydatków rocznych na pacjenta w programie 381 000,00 zł (około 6 PKB/1 mieszkańca), po przekroczeniu którego następuje zwrot refundacji poniesionej ponad ustalony limit.

**Nowa oferta Wnioskodawcy  
14.02.2024 r.**

**Uchwała Komisji Ekonomicznej – warunki uchwalone  
15.02.2024 r.**

*W toku negocjacji Wnioskodawca wyraził zgodę na zmianę brzmienia Kryteriów Kwalifikacji opisu programu lekowego dla dzieci (punkt 1.1.2) i dorosłych (punkt 1.2.2) z „rozpoznanie ASMD typu A/B lub B na podstawie braku lub niedoboru aktywności enzymu kwaśnej sfingomielinazy lub na podstawie badania genetycznego” na „rozpoznanie ASMD typu A/B lub B na podstawie braku lub niedoboru aktywności enzymu kwaśnej sfingomielinazy i na podstawie badania genetycznego”.*

*W toku negocjacji Wnioskodawca wyraził zgodę na zmianę brzmienia Kryteriów Kwalifikacji opisu programu lekowego dla dzieci (punkt 1.1.2) i dorosłych (punkt 1.2.2) z „rozpoznanie ASMD typu A/B lub B na podstawie braku lub niedoboru aktywności enzymu kwaśnej sfingomielinazy, lub na podstawie badania genetycznego” na „rozpoznanie ASMD typu A/B lub B na podstawie braku lub niedoboru aktywności enzymu kwaśnej sfingomielinazy i na podstawie badania genetycznego”.*

Propozycje Komisji Ekonomicznej stanowiły realizację przyjętej strategii negocjacyjnej, wynikającej z obowiązku uwzględnienia kryteriów wskazanych w art. 19 ust. 2 pkt 1-7 ustawy o refundacji, zgodnie z którymi mają być prowadzone negocjacje w Wnioskodawcą, jak również realizacji obowiązku określenia w czasie negocjacji, zgodnie z dyspozycją art. 36 ust. 3 powołanej ustawy, klinicznie istotnych punktów końcowych oraz ustalania mechanizmu podziału ryzyka opartego o wyniki kliniczne, z uwzględnieniem identyfikowanych obszarów ryzyka i niepewności we wnioskowanym wskazaniu. W trakcie prowadzonych negocjacji Komisja Ekonomiczna dążyła do wypracowania porozumienia równoważącego interes Wnioskodawcy interesem świadczeniobiorców i płatnika publicznego w obszarach, które Wnioskodawca wskazał jako negocjowalne (możliwe do negocjacji), a które uwzględniałyby właściwości technologii i przesłanki przyjętej strategii negocjacyjnej. Z powodu ograniczeń leżących po stronie Wnioskodawcy nie uzgodniono warunków finansowych: CZN, CHB dostaw do świadczeniodawcy i zabezpieczenia budżetu płatnika publicznego w postaci CAP-u na wydatkach płatnika w I i II roku obowiązywania decyzji i limitu wydatków rocznych na pacjenta leczonego w programie oraz RSS klinicznego opartego o wyniki kliniczne. Wnioskodawca propozycji Komisji nie przyjął, własnych - wychodzących naprzeciw oczekiwaniom Komisji w zakresie: CHB, CAP-ów i RSS klinicznego, adekwatnych i proporcjonalnych do postępu negocjacyjnego Komisji w zakresie CZN i akceptacji pierwszej oceny skuteczności po 12 miesiącach terapii, nie przedstawił, a wykluczając zastosowanie instrumentów dzielenia ryzyka wskazanych w art. 11 ust. 5 ustawy o refundacji, innych jak proponowany, zamknął negocjacje bez porozumienia. Ceny zbytu netto nienegocjowalne. CZN opakowania leku w dawce 4 mg w 2 krajach europejskich gdzie produkt w tej dawce jest dostępny w obrocie, CZN opakowania leku w dawce 20 mg w 4 krajach europejskich:

na 10, gdzie produkt w tej dawce pozostaje w obrocie, Nieakceptowalnie wysoki koszt terapii jednostkowej, nieuzasadniony dodatkowym efektem zdrowotnym. W systemie refundacji dla innych enzymatycznych terapii zastępczych w chorobach ultrazadkich, w tym z udziałem produktów Wnioskodawcy, nie funkcjonuje koszt płatnika na poziomie oczekiwanym przez Wnioskodawcę. Terapia przewlekła, w perspektywie dożywotnia, o działaniu wyłącznie objawowym, jest wysoce

Nieakceptowalnie wysoki wpływ na budżet płatnika wynikający z zaporowej CHB jednostkowego opakowania leku, niemożliwej do zaakceptowania przez Komisję. RSS kliniczny proponowany w wyniku negocjacji jest

Nieodpowiedni i niedostateczny RSS kliniczny

Oferta Wnioskodawcy stanowiąca wynik negocjacji w opinii Komisji Ekonomicznej nie równoważy interesu firmy, interesem pacjentów i płatnika publicznego.

Uwzględniając powyższe oraz biorąc pod uwagę przebieg jak i wynik przeprowadzonych negocjacji przyjęcie propozycji Wnioskodawcy stanowiłoby naruszenie zasad statuowanych przepisami § 1 Zarządzenia Ministra Zdrowia z dnia 1 września 2011 r. w sprawie Komisji Ekonomicznej, w których wskazano, że Komisja realizuje zadania kierując się względami gospodarności, rzetelności, obiektywizmu, legalizmu oraz równoważenia interesów świadczeniobiorców, podmiotów, z którymi są prowadzone negocjacje oraz płatnika świadczeń zdrowotnych.

Mając na uwadze przepis art. 36 ust. 6 ustawy, tj. w przypadku wniosków, o których mowa w art. 24 ust. 1 pkt 1b tego aktu normatywnego, w braku porozumienia z Wnioskodawcą Komisja podjęła uchwały negatywne w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Xenpozyme.

**Poprawność nieznana**

Dokument podpisany przez  
Łukasz Szmułski

Data: 2024.05.19 09:45:04 CET