



Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
Wydział Świadczeń Opieki Zdrowotnej

**Opracowanie analityczne w zakresie oceny skutków
regulacji projektu rozporządzenia uwzględniającego
nowe świadczenie gwarantowane:
„Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko
gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem
fotoferezy pozaustrojowej (ECP)”**

Wpływ na sektor finansów publicznych

Opracowanie na podstawie raportu analitycznego AOTMiT nr WS.4220.20.2022

Nr: WS.422.27.2023

Data ukończenia: 29.11.2023 r.

Spis treści

1. Wstęp	3
2. Warunki realizacji świadczenia	4
3. Skutki finansowe dla systemu ochrony zdrowia	5
3.1 Metodyka i sposób przeprowadzenia analizy	5
3.2 Oszacowanie populacji docelowej	6
3.3 Koszty	7
3.4 Wyniki	7
3.5 Podsumowanie	8
3.6 Ograniczenia analizy	8
4. Załączniki	10

1. Wstęp

Podstawowe informacje o zleceniu

Niniejsze opracowanie analityczne zostało przygotowane na zlecenie Ministra Zdrowia (pismo z dnia 12.10.2023 r., znak: DLG.742.28.2022.AT), w trybie art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2561, z późn. zm.), w sprawie opracowania projektu rozporządzenia i OSR dotyczącego świadczenia „Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) opornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)” z zakresu leczenia szpitalnego.

Materiał analityczny został przygotowany w oparciu o:

- opracowanie analityczne AOTMiT „Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) opornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)” (WS.4220.20.2022 z 15.11.2022 r.) dotyczące weryfikacji rekomendacji nr 71/2013 z dnia 24 czerwca 2013 r. w sprawie zakwalifikowania przedmiotowego świadczenia opieki zdrowotnej, w ramach którego przeprowadzono analizy:
 - dostępnych rekomendacji i wytycznych klinicznych,
 - doniesień naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa,
 - rozwiązań organizacyjnych funkcjonujących w innych krajach (rekomendacje refundacyjne),
 - rekomendacji ekonomicznych,
 - opinii ekspertów klinicznych,
 - aktualizację analizy wpływu na budżet,
 - propozycji warunków realizacji świadczenia;
- pogłębioną analizę dokumentów źródłowych, na które powołano się w ww. raporcie AOTMiT, wraz z weryfikacją ich aktualności, przede wszystkim w zakresie uwzględnionych kryteriów kwalifikacji pacjenta do przedmiotowego świadczenia oraz warunków jego realizacji;
- konsultacje z ekspertami klinicznymi posiadającymi doświadczenie z zakresu leczenia choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi oraz procedury fotoferezy.

2. Warunki realizacji świadczenia

Poniżej przedstawiono propozycję warunków realizacji świadczenia *Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)*, które zostały przygotowane w oparciu o przepisy rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego¹, rekomendacje i wytyczne kliniczne w zakresie kryteriów kwalifikacji, opisu warunków ujętych w raporcie AOTMiT.

Wystąpiono do 15 ekspertów klinicznych celem konsultacji zaproponowanych warunków realizacji i kryteriów kwalifikacji. Do dnia ukończenia opracowania analitycznego otrzymano odpowiedzi od sześciu ekspertów.

Przedstawiona niżej propozycja warunków opiera się na materiałach analitycznych z raportu Nr WS.4220.20.2022 oraz opiniach eksperckich. W przypadku braku jednoznacznej zgodności co do poszczególnych warunków lub kryteriów kwalifikacji, pod uwagę brano opinię większości ekspertów oraz Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej.

Tabela 1. Propozycja warunków realizacji świadczenia *Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)* wraz z podsumowaniem uwag ekspertów

L.p.	Nazwa świadczenia gwarantowanego	Warunki realizacji świadczeń gwarantowanych	
		3	4
xx	Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)	Wymagania formalne	1) oddział transplantologiczny lub 2) oddział hematologiczny, lub 3) oddział onkologii i hematologii dziecięcej.
		Personel	1. Lekarz specjalista w dziedzinie transplantologii klinicznej lub hematologii lub onkologii i hematologii dziecięcej –równoważnik co najmniej 2 etatów. 2. Pielęgniarki posiadające przeszkolenie w zakresie wykonywania zabiegu fotoferezy pozaustrojowej.
		Kryteria kwalifikacji do świadczenia	1. Świadczenie udzielane jest świadczeniobiorcy z ostrą lub przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) (ICD-10: T86): 1) oporną na kortykosteroidy: a) sterydooporność definiowana jako progresja aGvHD po 3 dniach stosowania glikokortykosteroidów w dawce 2 mg/kg mc lub brak odpowiedzi po 7 dniach glikokortykosteroidów lub brak remisji po 14 dniach glikokortykosterydoterapii; b) sterydooporność definiowana jako progresja cGvHD po 2 tygodniach glikokortykosterydoterapii lub brak odpowiedzi po 1 miesiącu glikokortykosterydoterapii lub brak remisji po 2 miesiącach glikokortykosterydoterapii; lub 2) sterydozależną: a) sterydozależność definiowana jest w aGvHD jako niemożność zmniejszenia dawki glikokortykosteroidów poniżej 2 mg/kg/dobę po początkowo skutecznym leczeniu trwającym co najmniej 7 dni lub jako nawrót aktywności aGvHD podczas zmniejszania dawki steroidów b) sterydozależność definiowana jest w cGvHD jako niemożność kontrolowania objawów cGvHD podczas zmniejszania dawki glikokortykosteroidów poniżej 0,25 mg/kg/dobę (lub 0,5 mg/kg co drugi dzień) w co najmniej dwóch indywidualnych próbach w odstępie co najmniej 8 tygodni.

¹ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego (Dz. U. 2023 poz. 870 z późn. zm.)

L.p.	Nazwa świadczenia gwarantowanego	Warunki realizacji świadczeń gwarantowanych	
1	2	3	4
			2. Świadczenie udzielne jest pacjentom po niepowodzeniu lub nietolerancji wcześniejszej terapii.
		Wyposażenie w sprzęt i aparaturę medyczną	W lokalizacji - urządzenie do wykonania fotoferezy (fototerapii) pozaustrojowej w systemie zamkniętym lub otwartym
		Zapewnienie realizacji badań	W dostępie badania: 1) hematologiczne, 2) biochemiczne, 3) mikrobiologiczne, 4) radiologiczne.
		Pozostałe wymagania	Posiadanie pozwolenia ministra właściwego do spraw zdrowia do prowadzenia postępowania z komórkami, tkankami oraz narządami.

3. Skutki finansowe dla systemu ochrony zdrowia

W poniższym rozdziale przedstawiono oszacowanie przewidywanych wydatków związanych z wprowadzeniem świadczenia „Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)” do wykazu świadczeń gwarantowanych zawartych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego.

Aktualnie fotofereza pozaustrojowa jest finansowana ze środków budżetu państwa w ramach Narodowego Programu Transplantacyjnego na lata 2023-2032 r. (będącego kolejną edycją programu wieloletniego na lata 2011–2022 pod nazwą „Narodowy Program Medycyny Transplantacyjnej”).

Na podstawie danych Ministerstwa Zdrowia dotyczących realizacji Narodowego Programu Medycyny Transplantacyjnej (lata 2018 – 2022) średni koszt w przeliczeniu na pacjenta wahał się między 4 793 zł a 5 973 zł, co przekłada się na łączne koszty poniesione przez MZ na poziomie około 8,5 mln zł w 2021 roku.

Obecnie ECP nie jest świadczeniem gwarantowanym z zakresu leczenia szpitalnego, a tym samym nie jest rozliczane bezpośrednio przez NFZ. Niniejsze opracowanie przedstawia oszacowane kosztów ponoszonych przez płatnika publicznego w perspektywie 10-letniej (lata 2023–2032) na finansowanie przedmiotowego świadczenia tj. „Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)”.

3.1 Metodyka i sposób przeprowadzenia analizy

Oszacowania kosztów w ramach analizy wpływu na budżet płatnika publicznego dokonano na podstawie opracowania analitycznego AOTMiT nr WS.4220.20.2022.

1. Założenia ogólne:

- Procedura ECP dedykowana jest pacjentom z ostrą lub przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy.
- Obliczeń dokonano dla populacji chorych na GvHD oraz oddzielnie dla populacji z aGvHD (ostra choroba przeszczep przeciw gospodarzowi) oraz populacji z cGvHD (przewlekła choroba przeszczep przeciw gospodarzowi).
- Oszacowania populacji docelowej i liczby procedur dokonano w oparciu o dane historyczne MZ oraz dane sprawozdawcze ośrodków realizujących fotoferezę w ramach Narodowego Programu Medycyny Transplantacyjnej, a także w oparciu o opinie ekspertów klinicznych.

- Do oszacowania kosztów nowego świadczenia przyjęto wartości produktów rozliczeniowych o kodzie: 5.52.01.0001006 oraz 5.52.01.0001461, analogicznie jak w raporcie nr WS.4220.20.2022, ponieważ stanowią one najbardziej dopasowane produkty dedykowane w leczeniu odrzucenia przeszczepu lub chorobie przeszczep przeciw gospodarzowi, które mogą służyć oszacowaniu wielkości przyszłych nakładów ponoszonych przez NFZ w związku z finansowaniem ECP.
- Oszacowanie konsekwencji finansowych oparto na aktualnie obowiązujących wycenach (cena za punkt rozliczeniowy) dla uwzględnionych świadczeń.

2. Horyzont czasowy: 10 lat

3. Perspektywa: płatnika publicznego NFZ

4. Liczebność populacji – dane wejściowe

W okresie początkowym: ok. 130-140 pacjentów rocznie do ok. 230 pacjentów w 10 roku – przyjęto wartości bazując na danych historycznych MZ, danych z realizacji fotoferezy w ramach NPMT oraz opiniach eksperckich.

5. Koszty – dane wejściowe:

Dla oszacowania kosztów procedury ECP przyjęto wartości produktów rozliczeniowych o kodzie:

- 5.52.01.0001006 Przewlekłe odrzucanie przeszczepu lub przewlekła choroba przeszczep przeciw gospodarzowi - diagnostyka, leczenie (diagnostyka, leczenie pacjenta od 31 dnia po wykonaniu przeszczepu - 3 342 pkt oraz
- 5.52.01.0001461 Ostre serydooporne odrzucanie przeszczepu lub ostra choroba przeszczep przeciw gospodarzowi - diagnostyka, leczenie pacjenta od 31 dnia od wykonania przeszczepu – 24 620 pkt

jednak ostateczny produkt rozliczeniowy dla nowego świadczenia może się wiązać z doszczegółowieniem charakterystyki obowiązujących ww. produktów poprzez dodanie procedury związanej z fotoferezą bądź z utworzeniem odrębnego produktu rozliczeniowego.

Założono, że wszyscy chorzy z aGvHD zostaną rozliczeni w oparciu o produkt rozliczeniowy o kodzie 5.52.01.0001461, a chorzy z cGvHD w oparciu o produkt rozliczeniowy o kodzie 5.52.01.0001006.

Z uwagi na ograniczone dane historyczne MZ oraz dane kliniczne pochodzące z badań klinicznych odstąpiono od oszacowania kosztów leczenia powikłań.

3.2 Oszacowanie populacji docelowej

Dokonano oszacowania liczby pacjentów oraz liczby procedur w oparciu o dane historyczne MZ oraz uzyskane od ośrodków realizujących fotoferezę w ramach Narodowego Programu Medycyny Transplantacyjnej, przy wykorzystaniu modelu regresji liniowej.

Tabela 2. Założenia dotyczące zmiennych umożliwiających oszacowanie liczby pacjentów i liczby procedur niniejszej analizy

Parametr	Założenia
Liczba pacjentów	Oszacowanie na podstawie modelu regresji liniowej na podstawie danych historycznych MZ
Liczba procedur przypadająca na pacjenta	
Wzrost liczby pacjentów i procedur (rok do roku)	
Udział aGvHD [%] – populacja/procedury	10%*
Udział cGvHD [%] – populacja/procedury	90%*

*na podstawie opinii ekspertów klinicznych;

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT WS.4220.20.2022

Tabela 3. Oszacowanie liczby pacjentów kwalifikującej się do ECP (w podziale na aGvHD i cGvHD) i liczby procedur

Lp.	Rok	Liczba pacjentów			Liczba procedur
		Ogółem	Populacja aGvHD	Populacja cGvHD	
1	2023	133	13	120	1 053
2	2024	144	14	130	1 058
3	2025	155	16	140	1 063
4	2026	165	17	149	1 068
5	2027	176	18	158	1 073
6	2028	187	19	168	1 078
7	2029	198	20	178	1 083
8	2030	209	21	188	1 088
9	2031	219	22	197	1 093
10	2032	230	23	207	1 098

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT WS.4220.20.2022

3.3 Koszty

Założono, że wszyscy chorzy z aGvHD zostaną rozliczeni w oparciu o produkt rozliczeniowy o kodzie 5.52.01.0001461, a chorzy z cGvHD w oparciu o produkt rozliczeniowy o kodzie 5.52.01.0001006.

Tabela 4. Produkty rozliczeniowe obejmujące leczenie odrzucenia przeszczepu ujęte w załączniku 1b do Zarządzenia Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne – świadczenia wysokospecjalistyczne

Kod produktu	Nazwa produktu rozliczeniowego	Wartość pkt	Wartość zł*
5.52.01.0001006	Przewlekłe odrzucanie przeszczepu lub przewlekła choroba przeszczep przeciw gospodarzowi - diagnostyka, leczenie (diagnostyka, leczenie pacjenta od 31 dnia po wykonaniu przeszczepu)	3 342	5 748
5.52.01.0001461	Ostre sterydooporne odrzucanie przeszczepu lub ostra choroba przeszczep przeciw gospodarzowi - diagnostyka, leczenie pacjenta od 31 dnia od wykonania przeszczepu	24 620	42 346

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT WS.4220.20.2022 na podstawie zarządzenia Prezesa NFZ.

*1 pkt = 1,72 zł (przyjęto cenę 1 punktu sprawozdawczego od lipca 2023 r.

3.4 Wyniki

Poniżej w tabeli przedstawiono:

- dane dotyczące szacunkowej liczby pacjentów z GvHD kwalifikujących się do ECP w perspektywie 10-letniej, przedstawiona liczba pacjentów obrazuje potencjalną populację, która może otrzymać ww. świadczenie;
- dane dotyczące szacunkowej liczby procedur wykonanych u ww. pacjentów;
- koszty inkrementalne ponoszone przez płatnika publicznego NFZ

w perspektywie 10-letniej, na potrzeby Oceny Skutków Regulacji projektu zmiany rozporządzenia.

Tabela 5. Prognozowana liczba pacjentów z GvHD kwalifikująca się do ECP, liczba procedur oraz koszty w 10-letnim horyzoncie czasowym

Lp.	Rok	Liczba pacjentów	Liczba procedur	Koszty – ogółem [mln zł]
1	2023	133	1 053	9,89
2	2024	144	1 058	9,92
3	2025	155	1 063	9,98

Lp.	Rok	Liczba pacjentów	Liczba procedur	Koszty – ogółem [mln zł]
4	2026	165	1 068	10,01
5	2027	176	1 073	10,08
6	2028	187	1 078	10,11
7	2029	198	1 083	10,17
8	2030	209	1 088	10,20
9	2031	219	1 093	10,27
10	2032	230	1 098	10,30

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT

3.5 Podsumowanie

Niniejsza analiza stanowi oszacowanie przewidywanych skutków finansowych wprowadzenia proponowanych zmian do rozporządzenia Ministerstwa Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego. Obecnie świadczenie obejmujące fotoferezę pozaustrojową w leczeniu ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy realizowane jest w ramach Narodowego Programu Transplantacyjnego i finansowane bezpośrednio ze środków Ministerstwa Zdrowia. W analizowanej populacji, fotofereza nie jest finansowana ze środków płatnika publicznego (NFZ).

Prognozowana liczba pacjentów z GvHD kwalifikująca się do ECP wynosi ok. 130-140 pacjentów rocznie w początkowych latach, z niewielką, roczną tendencją wzrostową, osiągając ok. 230 pacjentów po 10 latach finansowania przedmiotowego świadczenia gwarantowanego.

Objęcie finansowaniem przedmiotowego świadczenia wiąże się z dodatkowymi kosztami dla płatnika publicznego (NFZ) we wszystkich latach analizy. Koszty inkrementalne w 10-letniej perspektywie wynoszą: od ok. 9,89 mln zł w pierwszym roku finansowania do ok. 10,30 mln zł w dziesiątym roku finansowania.

Przy założeniu włączenia procedury ECP do rozliczenia w ramach obecnych o produktach rozliczeniowych o kodzie: 5.52.01.0001006 (3 342 pkt) oraz o kodzie: 5.52.01.0001461 (24 620 pkt) – będzie to wymagało aktualizacji i ujednoczenia wycena, lub przeprowadzenia wyceny procedury ECP w ramach nowego produktu rozliczeniowego.

Biorąc pod uwagę obecny poziom finansowania procedury w ramach Narodowego Programu Transplantacyjnego przez Ministerstwo Zdrowia (ok. 5900 zł) oraz zmianę sposobu realizacji ECP i oszacowane koszty finansowania przedmiotowego świadczenia poprzez wprowadzenie do koszyka świadczeń gwarantowanych (i przeniesienie finansowania z Ministerstwa Zdrowia do NFZ), można przyjąć, że wpływ na budżet państwa będzie najprawdopodobniej neutralny i dotyczy zmiany źródła finansowania a nie dodatkowych kosztów.

3.6 Ograniczenia analizy

W odniesieniu do powyższego oszacowania należy mieć na uwadze następujące ograniczenia:

- Parametry uwzględnione w modelu analizy częściowo bazują na opiniach eksperckich jako najlepszym dostępnym źródle danych wobec ograniczonej liczby danych historycznych dotyczących finansowania przedmiotowego świadczenia przez MZ oraz braku badań klinicznych o wysokiej jakości.
- Mała liczebność populacji docelowej może potencjalnie wpływać na niepewność oszacowań kosztów związanych z finansowaniem ze środków publicznych przedmiotowego świadczenia u pacjentów chorych na GvHD.
- Ze względu na duże rozbieżności w zakresie wartości wskaźników epidemiologicznych dotyczących częstości występowania ostrej i przewlekłej, sterydoopornej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi, trudno jednoznacznie oszacować populację jaka będzie się kwalifikowała do leczenia ECP.

- W niniejszej analizie, w celu obliczenia kosztu inkrementalnego, nie uwzględniono odpowiedzi pacjentów na leczenie, a co za tym idzie, m. in. zmniejszania liczby cykli ECP. Takie założenie również nie pozwala uwzględnić, że jedni pacjenci leczeni są krócej, inni zaś dłużej, bez względu na przyczynę (np. zgon, całkowita odpowiedź na leczenie, brak odpowiedzi na leczenie).
- Z uwagi na brak uwzględnienia w analizie wyników zdrowotnych pozwalających ograniczyć inne stosowane równolegle do ECP terapie, a także prowadzących do przerwania leczenia za pomocą ECP, koszty inkrementalne zakwalifikowania procedury fotoferezy pozaustrojowej jako świadczenia gwarantowanego należy traktować jako maksymalne.

4. Załączniki

1. Projekt rozporządzenia Ministra Zdrowia zmieniającego rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego.
2. Załącznik do projektu rozporządzenia Ministra Zdrowia zmieniającego rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego „Leczenie ostrej lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) odpornej na kortykosteroidy z wykorzystaniem fotoferezy pozaustrojowej (ECP)”.
3. Ocena skutków regulacji projektu rozporządzenia Ministra Zdrowia zmieniającego rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego.