



Załącznik nr 1 do Zarządzenia Nr 28/2015
Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych
i Taryfikacji
z dnia 2 stycznia 2015 r.

**Formularz zgłaszania uwag do
analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
i analiz wnioskodawcy¹**

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4351.4.2016
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Naglazyme (galsulfaza) w długotrwałej substytucji enzymatycznej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem mukopolisacharydozy typu VI (MPS VI; niedobór 4-sulfatazy N-acetylogalaktozaminy; zespół Maroteaux-Lamy'ego) (ICD-10 E 76.2)

Uwagi (pkt. 2) wraz z wypełnioną i własnoręcznie podpisaną Deklaracją Konflikту Interesów (pkt. 1) należy złożyć w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, ul. I. Krasickiego 26, 02-611 Warszawa, bądź przesłać przesyłką kurierską lub pocztową na adres siedziby Agencji.

Uwagi można zgłaszać w terminie 7 dni od dnia opublikowania analiz w Biuletynie Informacji Publicznej (BIP). Uwagi dostarczone do siedziby AOTMiT po upływie tego terminu nie będą rozpatrywane.

UWAGA! Zgłoszone uwagi i deklaracja konfliktu interesów będą publikowane w BIP AOTMiT².

1. Deklaracja o konflikcie interesów (DKI)³ – do wypełnienia w przypadku uwag do analizy weryfikacyjnej

Imię i nazwisko osoby składającej DKI dotyczącej złożenia uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej:

Anna Pisuk

Dotyczy wniosku/ów będącego/ych przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Czego dotyczy DKI⁴:

Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości

dotyczącego:

Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej

.....

¹ zgodnie z art. 35 ust. 4 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2011 r. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.)

² zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008, Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.)

³ o której mowa w art. 31s ust. 12 i 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008, Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.)

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

Złożenie uwag w związku z upublicznionym porządkiem obrad Rady Przejrzystości w dniu

Oświadczam, że w stosunku do mnie mojego małżonka/mojej małżonki, mojego zstępnego lub wstępnego w linii prostej, osoby, z którą/osób, z którymi pozostaję we wspólnym pożyciu⁵:

nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.),

zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), tj.:

pełnienie funkcji członka organów spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzącego działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym;

pełnienie funkcji członka organu spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzącego działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych;

pełnienie funkcji członka organów spółdzielni, stowarzyszeń lub fundacji prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych;

posiadanie akcji lub udziałów w spółkach handlowych prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, oraz udziałów w spółdzielniach prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych.

prowadzenie działalności gospodarczej w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalności gospodarczej w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych.

Proszę podać szczegóły, które Pani/Pan uzna za niezbędne, oraz nazwy podmiotów, z którymi wiąże Panią/Pana (małżonka/małżonkę, zstępnych lub wstępnych w linii prostej lub osoby z którymi pozostaje Pan/Pani we wspólnym pożyciu) relacje powodujące konflikt interesów. Opis powinien być możliwie zwięzły.

Jestem przedstawicielem firmy BioMarin Europe w Polsce.

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI *11/02/2016* 

Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
---	--------------

⁵ niepotrzebne skreślić

<p>rozdział 6.3.1., str. 48.</p>	<p><u>Uwaga analityka Agencji:</u> „Podstawowym ograniczeniem w przeprowadzonych oszacowaniach wnioskodawcy, jest pominięcie kosztów związanych z realizacją programu zdrowotnego...”</p> <p><u>Komentarz Wnioskodawcy:</u> Z uwagi na fakt, że chorzy byli leczeni w <i>Programie lekowym</i> do grudnia 2015 r. przyjęto, że koszt związany z kwalifikacją i weryfikacją leczenia w chorobach ultra rzadkich nie zostanie powtórnie naliczony.</p> <p>Zestaw badań służący monitorowaniu i ocenie skuteczności leczenia ujęty w <i>Programie lekowym</i> odzwierciedla międzynarodowe rekomendacje w tym zakresie (<i>Giugliani 2007</i>). W związku z tym przyjęto, że koszt monitorowania w leczeniu objawowym jest w przybliżeniu taki sam jak w przypadku leczenia rhASB w <i>Programie lekowym</i> (w ramach monitorowania będą występowały takie same badania). Dodatkowo w analizie wrażliwości testowano wpływ na wyniki przyjęcia kosztów jedynie w przypadku leczenia w programie lekowym. Koszt monitorowania stanowił niecałe 0,08% rocznych kosztów terapii.</p> <p>Koszt podania leku w ramach hospitalizacji jednodniowej został uwzględniony w analizie wrażliwości wykonanej przez Wnioskodawcę (wpływ na wynik analizy na poziomie około 0,6%).</p> <p>Na podstawie włączonych do analizy badań stwierdzono, że zdarzenia niepożądane występowały u większości chorych, jednakże najczęściej były to zdarzenia o łagodnym lub umiarkowanym nasileniu, a znaczącą część z nich uznano za wyniki z progresji choroby. Przyjęto ponadto, że działania niepożądane związane z podaniem leku będą leczone w ramach procedury podania leku.</p>
<p>rozdział 6.3.1., str. 48.</p>	<p><u>Uwaga analityka Agencji:</u> „Należy też zauważyć, że zaobserwowany przez wnioskodawcę wzrost zużycia leku w 2015 r. względem roku poprzedniego może wynikać ze wzrostu masy ciała związanej z dorastaniem (nie jest znany wiek obecnie leczonych pacjentów)”.</p> <p><u>Komentarz Wnioskodawcy:</u> Rzeczywiście istnieje niepewność związana z możliwą zmianą masy ciała chorych, co może się przełożyć na wzrost zużycia leku w horyzoncie analizy (wobec średniego zużycia w okresie styczeń 2014 – wrzesień 2015). W przypadku rozpatrywanej jednostki chorobowej i analizy historycznych danych refundacyjnych należałoby się jednak spodziewać bardzo niewielkich zmian refundowanej miesięcznie liczby fiolek leku (zwłaszcza w tak krótkim okresie czasu obserwowanych danych refundacyjnych). W ocenie Wnioskodawcy przedstawione warianty modelowania (zwłaszcza wariant maksymalny) uwzględnia już to ryzyko.</p> <p>Można bowiem zaobserwować znaczną zmienność refundowanej liczby fiolek leku w poszczególnych miesiącach z okresu historycznego – jest to czynnik, którego nie da się powiązać logicznie ze zmianą masy ciała chorych, np. kwietniu 2015 r. zrefundowano 100 fiolek leku, w maju 54 fiołki, a już w sierpniu znowu 96 fiolek leku. Taki przebieg zrefundowanej liczby fiolek leku jest charakterystyczny dla całego wskazanego okresu refundacji tj. od stycznia 2014 r. do września 2015 r. Trudno jest w takim przypadku mówić o istniejącym trendzie. Uwzględniony w analizie wariant maksymalny przewiduje niemal 15% wzrost liczby refundowanych fiolek leku (względem wariantu podstawowego stanowiącego średnią z lat 2014 i 2015) w 3</p>

	letnim okresie, co w odczuciu Wnioskodawcy w sposób adekwatny oddaje ryzyko wzrostu zużycia wnioskowanej technologii.
--	---

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnoszą się wniesione uwagi; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.

2. Uwagi do analiz wnioskodawcy⁶

a. Uwagi do analizy klinicznej

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnosi się uwaga; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.

b. Uwagi do analizy ekonomicznej

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnosi się uwaga; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.

c. Uwagi do analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnosi się uwaga; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.

d. Uwagi do analizy racjonalizacyjnej

Numer*	Uwagi

⁶ analizy, o których mowa w art. 25 pkt 14) lit. c oraz art. 26 pkt 2) lit. h oraz i ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2011 r. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.)

(rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnosi się uwaga; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.