

2018 -09- 20

Sekretariat Główny

lp. z kontr.wpł. ....  
liczba z .....  
1595

**Formularz zgłaszania uwag  
Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  
i analiz Wnioskodawcy<sup>1</sup>**

<b>Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:</b>	
<b>Numer:</b>	OT.4331.20.2018
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Caprelsa (wandetanib) w ramach programu lekowego: „Leczenie agresywnego i objawowego, nieoperacyjnego, miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka rdzeniastego tarczycy z zastosowaniem wandetanibu (ICD-10 C73)”.

Uwagi (pkt. 2) wraz z wypełnioną i własnoręcznie podpisaną Deklaracją Konflikty Interesów (pkt. 1) należy złożyć w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, ul. Karolkowa 30, 01-207 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 AOTMiT<sup>2</sup>.**

- Deklaracja o konflikcie interesów (DKI)<sup>3</sup>** – do wypełnienia w przypadku uwag do analizy weryfikacyjnej

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

Marek Dedecjus

Dotyczy wniosku/ów będącego/ych przedmiotem obrad Rady Przejrzystości: OT.4331.20.2018

Czego dotyczy DKI<sup>4</sup>:

- Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości dotyczącego:
- Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej .....

<sup>1</sup> 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 2017 r., poz. 1844 z późn. zm.)

<sup>2</sup> zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.)

<sup>3</sup> o której mowa w art. 31s ust. 12 i 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.)

<sup>4</sup> 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 pożyciu<sup>5</sup>:

nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.),

zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 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 spożywczym 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 spożywczym 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 spożywczym 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 spożywczym 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 spożywczym 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.*

Zaangażowanie w prowadzenie badań klinicznych nad cząsteczką wandetanibu jak i sorafenibu, selumetinibu i cabozantynibu w terapii raka tarczycy..

Wsparcie finansowe udziału w konferencjach krajowych i zagranicznych przez firmy Sanofi, Ipsen, Berlin-chemie, Merck, Novartis.

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

---

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

## 1. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>W nawiązaniu do proponowanych zapisów programu lekowego uważam za zasadne:</p> <p>1) poszerzenie grupy pacjentów, dla których lek będzie udostępniony o chorych bez obecności mutacji genu RET</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• niewielka liczba chorych ma dostęp do terapii wandetanibem w ramach leczenia ratunkowego.</li><li>• Wnioski ze stosowania tego leku w tej grupie chorych potwierdzają wyniki obserwowane w badaniach klinicznych (zatrzymanie progresji choroby).</li><li>• W praktyce klinicznej dostrzegamy skuteczność terapii niezależnie od statusu mutacji RET. Poprawa kliniczna obserwowana jest zarówno u pacjentów ze statusem RET pozytywnym jak i negatywnym.</li><li>• Istnieje duże ryzyko niewykrycia mutacji RET u pacjenta pomimo, że mutacja ta u niego występuje.</li><li>• Mutacja może występować jedynie w niektórych fragmentach zmiany pierwotnej lub nie we wszystkich zmianach przerzutowych.</li><li>• Status mutacji RET zmienia się w czasie wraz z postępem choroby. Tym samym wprowadzenie tego kryterium w niezasadny sposób uniemożliwi w praktyce włączenie pacjenta do procesu terapeutycznego, lub też, znacząco opóźni rozpoczęcie leczenia, które będzie możliwe dopiero w bardzo zaawansowanym stadium co znacząco zmniejszy szansę skutecznego zahamowania choroby.</li></ul> <p>Dlatego też, w mojej opinii pożądanym jest pominięcie zapisu dotyczącego konieczności występowania u pacjenta mutacji genu RET z kryteriów kwalifikacji do programu.</p> <p>2) uzupełnienie treści programu lekowego o zapis pozwalający na włączenie do programu pacjentów już otrzymujących terapię wandetanibem</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• W aktualnej sytuacji refundacyjnej, zarówno włączenie pacjenta do leczenia, jak i przedłużanie możliwości stosowania leku przez pacjentów, u których wykazano skuteczność, wymaga każdorazowej zgody Ministerstwa Zdrowia, co często znacząco opóźnia moment rozpoczęcia leczenia. Stosowanie takich samych kryteriów umożliwi uzyskanie i utrzymanie korzyści klinicznych również grupie pacjentów już leczonych.</li></ul> <p>Badania kliniczne wskazują na potwierdzoną skuteczność kliniczną wandetanibu, przede wszystkim w zakresie przeżycia wolnego od progresji względem placebo. Nie uzyskanie znamienności statystycznej w przeżyciu całkowitym względem placebo najprawdopodobniej wynika to z zastosowanego modelu badania, w ramach którego, w przypadku wystąpienia progresji w grupie pacjentów z ramienia placebo</p>

	umożliwiono stosowanie wandetanibu. Z perspektywy klinicysty, a przede wszystkim pacjenta istotne jest zahamowanie progresji choroby, co w dalszej perspektywie wpływa na wydłużenie życia w dobrym stanie fizycznym i psychicznym. Jednocześnie profil bezpieczeństwa został dobrze poznany, w związku z tym możliwe jest właściwe monitorowanie i przeciwdziałanie ewentualnym działaniom niepożądanym, tak aby nie wpływały one w znaczący sposób na proces leczenia.

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

## 2. Uwagi do analiz Wnioskodawcy<sup>6</sup>

### 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

<sup>6</sup> 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 2017 r., poz.1844 z późn. zm.)


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

#### **d. Uwagi do analizy racjonalizacyjnej**

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>

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

Data składania i podpis osoby składającej DKI

2018.09.20 

Wyrażam zgodę na gromadzenie, przetwarzanie i udostępnianie danych osobowych zawartych w DKI których podstawa przetwarzania nie wynika z wypełnienia obowiązku prawnego ciążącego na AOTMiT w celu identyfikacji konfliktu interesów zgodnie z rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (ogólne rozporządzenie o ochronie danych) (Dz. U. UE.L. z 2016 r.119.1).

Data składania i podpis osoby składającej DKI

2018.09.20 

KIEROWNIK  
Kliniki Endokrynologii Onkologicznej  
i Medycyny Nuklearnej  
prof. dr hab. n. med. Marek Dedećjus  
ENDOKRYNOLOGII ONKOLOGICZNEJ  
I MEDYCYNY NUKLEARNEJ  
Centrum Onkologii-Instytut  
Im. Marii Skłodowskiej-Curie  
ul. W. K. Reantigena 5, 02-781 Warszawa  
KIEROWNIK  
Kliniki Endokrynologii Onkologicznej  
i Medycyny Nuklearnej  
prof. dr hab. n. med. Marek Dedećjus

KIEROWNIK  
Kliniki Endokrynologii Onkologicznej  
i Medycyny Nuklearnej  
prof. dr hab. n. med. Marek Dedećjus  
ENDOKRYNOLOGII ONKOLOGICZNEJ  
I MEDYCYNY NUKLEARNEJ  
Centrum Onkologii-Instytut  
Im. Marii Skłodowskiej-Curie  
ul. W. K. Reantigena 5, 02-781 Warszawa  
KIEROWNIK  
Kliniki Endokrynologii Onkologicznej  
i Medycyny Nuklearnej  
prof. dr hab. n. med. Marek Dedećjus