



Formularz zgłaszania uwag do  
raportu Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  
i analiz wnioskodawcy<sup>1</sup>

Formularz zgłaszania uwag do raportu AOTMiT:

<b>Numer:</b>	OT.4320.11.2019
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o wydanie opinii w sprawie włączenia produktu Hemlibra (emicizumab) w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023” we wskazaniu: leczenie chorych na hemofilię A z inhibitorami czynnika VIII. (OT.4320.11.2019)

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. Przeskok 2, 00-032 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>.

1. **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:

Krzysztof... Chojnowski.....

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

Produktu leczniczego **Hemlibra (emicizumab)** do leczenia chorych na hemofilię A z inhibitorami czynnika VIII, w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej pn. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023 (OT.4320.11.2019).

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 2017r., poz. 1844 z późn. zm.)

<sup>2</sup> zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017, poz. 1938 z późn. zm.)

<sup>3</sup> o której mowa w art. 31s ust. 12 i 23 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017, 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>:

X  **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.

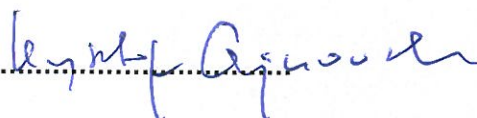
*Proszę podać szczegóły, które Pani/Pan uzna za niezbędne, oraz nazwy podmiotów, z którymi wiążą Panią/Pana (małżonka/małżonkę, zstępnych lub wstępnych w linii prostej lub osoby z którymi pozostaje Pan/Pani we wspólnym pożyciu) relacje powodujące konflikt interesów. Opis powinien być możliwie zwięzły.*

.....  
.....  
.....  
.....

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

20.11.2019 

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**

20.11.2019 

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>Chorzy na hemofilię A z inhibitorem czynnika VIII stanowią nieliczną ale najtrudniejszą do leczenia grupę chorych. Zarówno leczenie jak i zapobieganie krwawieniom za pomocą koncentratów czynników krzepnięcia omijających inhibitor (BPA) nie jest tak skuteczne jak terapia substytucyjna koncentratami czynnika VIII w ciężkiej hemofilii bez inhibitora, natomiast wiąże się to ze znacznie wyższymi kosztami. Dlatego hemofilicy z inhibitorem są częściej narażeni na krwawienia zagrażające życiu, mają szybszą progresję artropatii hemofilowej, często wymagają hospitalizacji i kontroli w Ośrodku Leczenia Hemofilii oraz mają znacznie gorszą jakość życia. Wprowadzenie emicizumabu (Hemlibra) do profilaktyki krwawień w hemofilii powikłanej inhibitorem jest niewątpliwym przełomem. W badaniach randomizowanych (Haven1, Haven2) udowodniono, że emicizumab zmniejsza częstość krwawień a u ponad połowy chorych krwawienia w ogóle nie występowały. Wyniki dotychczasowych badań wskazują również, że emicizumab jest lekiem dobrze tolerowanym i bezpiecznym jeśli postępuje się zgodnie z chpl.</p> <p>Najważniejsze argumenty za wnioskowaną technologią w populacji pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem czynnika VIII :</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Wysoka skuteczność – znaczne ograniczenie, a u części chorych wyeliminowanie krwawień i zahamowanie artropatii hemofilowej. Podstawowym celem leczenia hemofilii w tym hemofilii z inhibitorem jest zapobieganie krwawieniom i artropatii hemofilowej. Dotychczasowe metody profilaktyki krwawień za pomocą BPA wykazują niską skuteczność i narażają pacjentów na częste wstrzyknięcia dożylnie. Trudny dostęp do żył obwodowych może ograniczać możliwości stosowania profilaktyki i ujemnie wpływać na przestrzeganie zaleceń.</li> <li>2. Dobra tolerancja i bezpieczeństwo stosowania leku</li> <li>3. Wygodna dla chorych droga podania leku. Wstrzyknięcia podskórne mogą być wykonywane przez samego pacjenta, co nie zawsze jest możliwe przy dożylnym podaniu leku.</li> <li>4. Długi okres działania leku umożliwia stosowanie leku co 1-4 tygodnie. Rzadkie podawanie Hemlibry drogą podskórną powinno przekładać się na wysoki stopień przestrzegania zaleceń co dodatkowo może poprawiać skuteczność profilaktyki i wpływać korzystnie na jakość życia.</li> <li>5. Poprawa jakości życia zależnej od zdrowia i ogólnego poczucia zdrowia</li> <li>6. Mniejsza częstość hospitalizacji i wizyt w Ośrodku Leczenia Hemofilii chorych leczonych profilaktycznie Hemlibrą. Może korzystnie wpływać na koszty leczenia.</li> <li>7. Mniejsza absencja w pracy/szkole</li> </ol>

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

### 3. Uwagi do analiz wnioskodawcy<sup>6</sup>

#### a. Uwagi do analizy klinicznej

<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.

#### b. Uwagi do analizy ekonomicznej

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>
5.3.4 Tab.46 Str. 63	Analiza własna kosztów leczenia krwawienia za pomocą preparatu Hemlibra nie ma żadnego uzasadnienia. Hemlibrę stosuje się bowiem w celu profilaktyki a nie leczenia krwawień.

\* 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

<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.

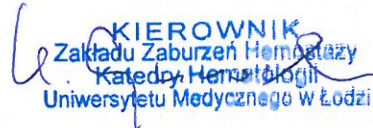
#### d. Uwagi do analizy racjonalizacyjnej

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

<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 2016r., poz. 1536 z późn. zm.)


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

20.11.2019

  
KIEROWNIK  
Zakładu Zaburzeń Hematocyty  
Katedry Hematologii  
Uniwersytetu Medycznego w Łodzi

prof. dr hab. n. med. Krzysztof Chojnowski