

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

Formularz zgłaszania uwag do raportu AOTMiT:	
Numer:	OT.4320.11.2019
Tytuł:	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 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: Joanna Zdziarska

Dotyczy wniosku/ów będącego/yh 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 DKI⁴:

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

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 2017r., poz. 1844 z późn. zm.)

² 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.)

³ 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.)

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

⁵ niepotrzebne skreślić

- ~~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.
nie dotyczy

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

...21.11.2019.....

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

...21.11.2019.....

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Str. 61/85 „Dawkowanie”	Przyjęcie danych o zużyciu preparatów omijających za 2018 nie odzwierciedla obecnej praktyki klinicznej w Polsce. W 2019 roku rozpoczęły działalność ośrodki leczenia hemofilii, większa liczba chorych uzyskała dostęp do leczenia profilaktycznego, więcej pacjentów zostało również objętych rehabilitacją. We wnioskach złożonych do Rady Programu dla każdego pacjenta przedstawiono schemat leczenia i zużycie preparatów omijających za ostatnie 12 miesięcy , nie za rok 2018.
Str 61/85	Dane za 2018 rok zostały przedstawione cyt. „bez podziału na profilaktykę i leczenie”, przez co należy zapewne rozumieć, że dotyczą wszystkich chorych na hemofilię z inhibitorem łącznie. W tej grupie są pacjenci niewymagający profilaktyki, krwawiący rzadko, którzy zużywają niewielkie ilości czynników omijających. Być może w tej grupie są również chorzy z niskim mianem inhibitora (zużywający minimalne ilości preparatów omijających lub wcale ich niewymagający). Tacy pacjenci nie będą kwalifikowani do leczenia emicizumabem. Rada Programu, zgodnie z zapisem programu, będzie kwalifikować pacjentów do terapii emicizumabem zgodnie ze wskazaniami medycznymi, biorąc pod uwagę możliwości budżetu programu. Jasno wynika z tego, że do nowej terapii będą zakwalifikowani pacjenci wymagający profilaktyki oraz najbardziej potrzebujący zmiany obecnej terapii (pod względem medycznym), w ramach dostępnych środków finansowych. Takich pacjentów dotyczą złożone do Rady wnioski. Rada ściśle współpracuje z Narodowym Centrum Krwi. Jak pokazuje historia współpracy środowiska lekarzy opiekujących się chorymi na skazy krwotoczne w Polsce z tą instytucją, stałe i bieżące uzgodnienia dotyczące dostępnego budżetu oraz zapotrzebowania na poszczególne preparaty pozwalały na realizację programu w kolejnych latach oraz umożliwiły stały wzrost standardu opieki nad tą grupą chorych w Polsce. Niezrozumiałe wydaje się pominięcie oczywistych danych dotyczących efektywności kosztowej i medycznej emicizumabu w grupie chorych wyselekcjonowanych przez lekarzy i zaakceptowanych przez Radę na rzecz porównania kosztu terapii z nieaktualnym średnim kosztem leczenia wszystkich pacjentów za 2018 rok.
Str 63/85 Tab. 46	Tabela przedstawia dane nieprawdziwe, pozostające w sprzeczności z praktyką kliniczną oraz wynikami badań klinicznych. Wg tabeli koszt profilaktyki BPA jest taki, jak koszt profilaktyki EMI: przeczą temu wnioski złożone do rady Programu, dotyczące konkretnie tych pacjentów, którzy wymagają zmiany terapii. Wg tabeli koszt leczenia krwawień w ramieniu emicizumabi jest sześciokrotnie wyższy niż w ramieniu BPA, co jest całkowicie niezrozumiałe, biorąc pod uwagę fakt, że w badaniu klinicznym HAVEN1 włączenie emicizumabu

wiązało się z 87% redukcją krwawień w porównaniu z leczeniem na żądanie BPA, a 63% pacjentów nie miało żadnych krwawień wymagających leczenia w czasie trwania badania. Doświadczenie krajów stosujących emicizumab potwierdza te wyniki.

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



Joanna Zdziarska

Małopolski koordynator ds. leczenia hemofilii

Przewodnicząca Zespołu ds. ds. opiniowania leków Rady Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023

Członek Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów

dr n. med. Joanna Zdziarska

Katedra i Klinika Hematologii Uniwersytetu Jagiellońskiego Collegium Medicum
ul. Kopernika 17, 31-501 Kraków; tel. 124247690, 502353694
joannaz@patio.strefa.pl; jzdzarska@su.krakow.pl