

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4331.41.2019
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego Kyprolis (karfilzomib) w programie lekowym: „Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka mnogiego (ICD10 C90.0) z zastosowaniem karfilzomibu”

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. 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:

ARUR JURCZY SZAN

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

Produktu leczniczego **Kyprolis (karfilzomib)** we wskazaniu: w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka mnogiego (ICD10 C90.0) z zastosowaniem karfilzomibu”

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

- Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości dotyczącego: .....
- Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej .....
- Złożenie uwag w związku z upubliczniętym porządkiem obrad Rady Przejrzystości w dniu .....

<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

AV

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

.....

.....

.....

.....

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

30X 219r

dr. hab. n. med. ARTUR JURCZYSZYN  
Prof. UJ  
specjalista chorób wewnętrznych  
specjalista hematolog  
980613909 8621825

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**

30X 2219r

dr. hab. n. med. ARTUR JURCZYSZYN  
Prof. UJ  
specjalista chorób wewnętrznych  
specjalista hematolog  
980613909 8621825

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>
Nie dotyczy	<p>Dyskutowana terapia dwulekowa w oparciu o karfilzomib i deksametazon (Kd) jest zarejestrowana u chorych na szpiczaka plazmocytoowego, u których zastosowano wcześniej przynajmniej jeden schemat leczenia. W badaniu ENDEAVOR wykazano istotne statystycznie wydłużenie przeżycia całkowitego (OS) u chorych leczonych karfilzomibem w schemacie Kd (karfilzomib, deksametazon) z medianą wynoszącą 47,8 miesiąca vs. 38,8 miesiąca (HR=0,76, p=0,0017). Co niezmiernie istotne korzyść w odniesieniu do przeżycia całkowitego (OS) obserwowana była we wszystkich analizowanych podgrupach badania. W porównaniu do standardowego leczenia schematem Vd (bortezomib, deksametazon) osiągnięto blisko dwukrotne wydłużenie czasu wolnego od progresji choroby (mediana PFS 18,7 vs 9,4 miesiąca, HR=0,53 p&lt;0,0001). Badanie potwierdziło również wysoką skuteczność schematu Kd (karfilzomib, deksametazon) w porównaniu do schematu Vd (bortezomib, deksametazon) w odniesieniu do odsetka bardzo dobrej odpowiedzi częściowej (VGPR 54% vs. 29%) przy zachowaniu lepszej tolerancji leczenia (5-krotnie mniejszy odsetek neuropatii niż w przypadku leczenia z zastosowaniem bortezomibu). Ponadto bardzo ważne jest to, że schemat Kd jest tak samo skuteczny zarówno wśród chorych, którzy wcześniej nie otrzymywali bortezomibu, jak i u tych, którzy otrzymali poprzednio takie leczenie.</p> <p>Warto podkreślić, że najważniejsze wytyczne międzynarodowe (NICE 2018, NCCN 2018, ESMO 2017, IMWG 2016) rekomendują terapię karfilzomibem w skojarzeniu z deksametazonem w leczeniu pacjentów z nawrotowym lub opornym szpiczakiem plazmocytoowym. W wielu krajach UE terapia ta jest od dawna stosowana i refundowana.</p> <p>W tym miejscu należy nadmienić, że pod koniec 2018 roku, na podstawie wyników badania ARROW, FDA dopuściło do stosowania odmienny, wygodniejszy dla pacjenta schemat dawkowania karfilzomibu (Kd w dawce 70 mg/m<sup>2</sup> stosowanego raz w tygodniu). Tygodniowy schemat dawkowania karfilzomibu stanowi przyszłość terapii i dużą wygodę dla pacjentów oraz ośrodków leczących chorych na szpiczaka plazmocytoowego. Wyżej wymieniony schemat dawkowania został również opisany w Zaleceniach Polskiej Grupy Szpiczakowej 2018/2019.</p> <p>Zgodnie z zapisami rejestracyjnymi schemat Kd (karfilzomib, deksametazon) może być zastosowany u chorych na szpiczaka plazmocytoowego, u których podano wcześniej przynajmniej jedną linię leczenia. W związku z tym wydaje się, że w warunkach polskiej praktyki klinicznej zastępować może przede wszystkim obecnie stosowane schematy dwulekowe w oparciu o lenalidomid Rd (lenalidomid,</p>

	deksametazon), pomalidomid (Pd) oraz już rzadziej stosowany schemat w oparciu o bortezomib (Vd).

\* 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

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.

<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.)

