

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4231.26.2021
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Reblozyl (Iuspatercept) w ramach programu lekowego: „Leczenie dorosłych pacjentów z niedokrwistością zależną od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych o ryzyku bardzo niskim, niskim i pośrednim z obecnością pierścieniowatych syderoblastów, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie erytropoetyną, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia (ICD-10 D46.1)”

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 albo pocztową na adres siedziby Agencji.

Dopuszczalne jest również przesłanie na adres poczty elektronicznej: sekretariat@aotm.gov.pl uwag (pkt. 2) wraz z wypełnioną Deklaracją Konflikty Interesów (pkt. 1) podpisaną za pomocą kwalifikowanego podpisu elektronicznego albo podpisu zaufanego.

Uwagi można zgłaszać w terminie 7 dni od dnia opublikowania analiz w Biuletynie Informacji Publicznej (BIP). Uwagi dostarczone do siedziby AOTMiT bądź przesłane na adres poczty elektronicznej: sekretariat@aotm.gov.pl po upływie tego terminu nie będą rozpatrywane.

W związku z obowiązującym stanem epidemii wprowadzonym rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 20 marca 2020 r. w sprawie ogłoszenia na obszarze Rzeczypospolitej Polskiej stanu epidemii (Dz. U. z 2020 r., poz. 491 z późn. zm.), w przypadku zamiaru przesłania uwag wraz z Deklaracją Konflikty Interesów przesyłką kurierską albo pocztową na adres siedziby Agencji, zwracamy się z uprzejmą prośbą o dodatkowe przekazanie skanu (lub zdjęcia) podpisanego dokumentu za pośrednictwem ePUAP lub poczty elektronicznej: sekretariat@aotm.gov.pl.

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:Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek.....

Dotyczy wniosku/ów będącego/ych przedmiotem obrad Rady Przejrzystości: j.w.

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.)

Czego dotyczy DK1⁴:

- 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:



- 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.

.....

.....

.....

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

⁵ niepotrzebne skreślić

.....

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

5.08.2021 Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek.....

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

...5.08.2021 Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek.....

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>Zespoły mielodysplastyczne (Myelodysplastic syndromes – MDS), stanowią heterogenną grupę chorób nowotworowych układu krwiotwórczego. U chorych na MDS niższego ryzyka, tj z grupy niskiego i pośredniego 1 ryzyka wg IPSS lub z grupy bardzo niskiego, niskiego i pośredniego ryzyka wg zmodyfikowanego IPSS najczęściej stwierdzana jest niedokrwistość. Powoduje to konieczność przetoczeń koncentratu krwinek czerwonych, które może prowadzić do przeładowania żelazem i uszkodzenia serca, wątroby, narządów wydzielania wewnętrznego (przysadka, tarczyca), uszkodzenia stawów rozwoju cukrzycy. Odzwierciedleniem przeładowania żelazem jest wzrost stężenia ferrytyny w surowicy. Uzależnienie od przetoczeń koncentratu krwinek czerwonych (KKCz) i hiperferrytynemia powodują skrócenie czasu przeżycia, czego dowodzą liczne badania, w tym grupy polskiej (1).</p> <p>W czerwcu 2020 r EMA dokonała rejestracji nowego leku - luspaterceptu (Reblozyl) do leczenia niedokrwistości u chorych na zespoły mielodysplastyczne z obecnością pierścieniowatych syderoblastów uzależnionych od przetoczeń KKCz (>2j przez 8 tygodni w czasie 16 tygodniowej obserwacji), którzy nie odpowiedzieli na leczenie czynnikami stymulującymi erytropoezę (ESA), lub z podwyższonym stężeniem endogennej erytropoetyny. Należy dodać, że chorzy na MDS z obecnością pierścieniowatych syderoblastów uzyskują gorsze wyniki leczenia ESA w porównaniu z innymi chorymi z grupy niższego ryzyka bez obecności pierścieniowatych syderoblastów (MDS-RS). Chorzy na MDS-RS stanowią 3-11% wszystkich chorych na MDS. W badaniu III fazy: MEDALIST wykazano, że uniezależnienie od przetoczeń KKCz przez co najmniej 8 tygodni w ciągu 24 tygodni leczenia luspaterceptem uzyskało 47% chorych (2). Odpowiedź hematologiczną wg kryteriów IWG 2006 uzyskało 53% chorych. W grupie z niskim zapotrzebowaniem na KKCz (<4j KKCz/8 tygodni) niezależnych od przetoczeń KKCz było 80%. Na konferencji EHA 2021 r. przedstawiono doniesienie wykazujące, że kontynuacja leczenia luspaterceptem u chorych, którzy odpowiedzieli na leczenie w czasie 24 tygodni, powoduje dalszą korzyść w postaci obniżenia zapotrzebowania na przetoczenia KKCz po 48 i 144 tygodniach (3). Luspatercept jak wykazało badanie MEDALIST stwarza olbrzymią szansę na uniezależnienie od przetoczeń KKCz lub zmniejszenie zapotrzebowania na przetoczenia u chorych na MDS-RS. Poprawia także jakość życia chorych, gdyż wcale nierzadko wymagają oni przetoczeń co 1-2 tygodnie. Powoduje to także odciążenie lekarzy i pielęgniarek poprzez zmniejszenie częstości hospitalizacji w celu przetoczenia KKCz. Należy wziąć pod uwagę konieczność zaangażowania rodzin lub opiekunów chorych, gdyż chorzy na MDS</p>

	<p>to najczęściej osoby starsze, często wymagające pomocy osób trzecich. Rodzina, opiekunowie biorą w tym celu urlopy lub zwolnienia z pracy, co zdecydowanie pogarsza także ich jakość życia. W dobie pandemii Covid 19, zmniejszona konieczność tych wizyt i hospitalizacji, zmniejsza narażenie na kontakty z zakażonymi, którzy mogą nie wiedzieć o zakażeniu. Wdrożenie luspaterceptu do leczenia chorych na MDS-RS zdecydowanie zasługuje na akceptację.</p> <p>Prof. dr hab. n. med. Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek Przewodnicząca Sekcji do spraw MDS przy PALG(Poska Grupa ds. Leczenia Białaczek u Dorosłych).</p> <p>Piśmiennictwo:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Waszczuk-Gajda A, Mądry K, Machowicz R....Dwilewicz-Trojaczek J. Red Blood Transfusion Dependency and Hyperferritinemia Are Associated with Impaired Survival in Patients Diagnosed with Myelodysplastic Syndromes: Results from the First Polish MDS-PALG Registry. Adv. Clin. EXP Med., 2016, 25(4): 633-641 2. Fenaux P, Platzbecker U, Mufti GI i wsp.Luspatercept in patients with lower-risk myelodysplastic syndromes. N Engl J Med. 2020, 382(2): 140-151 3. Garcia-Manero G, Fenaux P, Platzbecker U i wsp. Luspatercept reduces red blood cell transfusion in patients with LR-MDS regardless of baseline transfusion burden in the MEDALIST study. EP 920 EHA 2021

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

3. 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*	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 2016r., poz. 1536 z późn. zm.)

(rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	

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

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

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKl

5.08.2021 Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek.....

Wyrażam zgodę na gromadzenie, przetwarzanie i udostępnianie danych osobowych zawartych w DKl 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 DKl

...5.08.2021 Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek.....