

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

Formularz zgłaszania uwag do raportu AOTMiT:	
Numer :	OT.4220.41.2022
Tytuł:	Ocena zasadności wprowadzenia czynnika IX o przedłużonym działaniu w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej pn. "Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 20192023"

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 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 AOTMiT¹.

1. Deklaracja o konflikcie interesów (DKI)² – do wypełnienia w przypadku uwag do raportu

Imię i nazwisko osoby składającej DKI dotyczącej złożenia uwag do upublicznionego raportu:

Ewelina Matuszak

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

.....
Czego dotyczy DKI³:

Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości

-dotyczącego:

¹ zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021, poz. 1285 z późn. zm.)

² 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 2021, poz. 1285 z późn. zm.)

³ zaznaczyć tylko 1 pole

Złożenie uwag do upublicznionego raportu Agencji

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 pożyciu⁴:

nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz.2561),

Nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz.2561), 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.

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

Ewelina Matuszak

29.06.2023
Ewelina Matuszak

⁴ niepotrzebne skreślić

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

Ewelina Matuszak 23.06.2023:

Ewelina Matuszak

2. Uwagi do raportu AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Ogólne uwagi do całego Raportu	<p>W Polsce leczenie pacjentów z hemofilia B odbywa się czynnikami rekombinowanymi (głównie dzieci) oraz osoczo pochodnymi (dorośli). Czynniki długodziałające w hemofilii B nie były do tej pory w Polsce stosowane. W opracowaniu brakuje porównania nowej terapii (czynniki długodziałające) do czynników konwencjonalnych. Opracowanie powinno być oparte na bezpośrednim porównaniu tych 2 technologii medycznych w zakresie:</p> <ul style="list-style-type: none"> - częstość podań dożylnych pomiędzy czynnikami konwencjonalnymi a czynnikami długodziałającymi IX - skuteczności w zakresie powstrzymywania krwawień pomiędzy czynnikami konwencjonalnymi a czynnikami długodziałającymi IX <p>Na podstawie badań klinicznych oraz wytycznych leczenia hemofilii B, czynniki długodziałające przynoszą więcej korzyści pacjentom z hemofilią od klasycznych czynników krzepnięcia.</p> <ul style="list-style-type: none"> - pozwalają znacząco zredukować liczbę dożylnych podań - wiążą się z lepszą kontrolą hemofilii (mniej krwawień po zastosowaniu czynników długodziałających IX) - są łatwiejsze w użyciu, zwłaszcza w porównaniu do czynników z osocza ludzkiego - lepiej chronią stawy - możliwe jest uzyskanie znacznie mniejszego zużycia czynnika długodziałającego IX
Strony 49-55	<p>Polska jest jedynym krajem UE, gdzie do tej pory żaden pacjent z hemofilią B nie był leczony czynnikami długodziałającymi. Ceny czynników osoczo pochodnych ulegają dużym zmianom w zależności od podaży dawców osocza. Raport nie odnosi się do powyższych sytuacji. Nie uwzględniono również systemu zakupu czynnika dla dzieci: obecny model (przetargi co 2 lata), mrozi ceny, podczas gdy od zagranicznych parterów wiemy o spadkach cen na czynniki długodziałające IX nawet w przeciągu roku.</p>
Strona 39 i 55	<p>W dokumencie brakuje zdefiniowanej grupy, dla której należy zastosować czynniki długodziałające IX. Na podstawie badań klinicznych oraz wytycznych leczenia hemofilii, czynniki długodziałające przynoszą najlepsze efekty, gdy stosujemy je u:</p> <ul style="list-style-type: none"> - dzieci (zwłaszcza uprzednio nie leczonych) - dzieci, które w hemofilii B przyjmują czynnik częściej niż 2 razy w tygodniu - dzieci i dorosłych aktywnych fizycznie - dzieci i dorosłych u których profilaktyka nie jest skuteczna (dochodzi do wylewów dostawowych pomimo stosowanego czynnika krzepnięcia) - dzieci i dorosłych z trudnym dostępem naczyniowym

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnoszą się wniesione uwagi; nie dotyczy

w przypadku uwag ogólnych.

3. Uwagi do analiz Podmiotu Odpowiedzialnego

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

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

Literatura:

1. Łaguna P. i wsp. Postępowanie u dzieci i młodzieży z hemofilią a lub b: rekomendacje polskiego towarzystwa onkologii i hematologii dziecięcej. *Przegląd Pediatryczny*. 2022/Vol. 51/No. 1/41-54
2. Windyga J. i wsp. Część I: Wytyczne postępowania w hemofilii A i B niepowikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (wydanie zaktualizowane). *Acta Haematologica Polonica* Volume 47, Issue 2, April–June 2016, Pages 86-114
3. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. *Haemophilia*. 2020 : 00 : 1 – 158.
4. Escobar, M.; Mancuso, M.E.; Hermans, C.; Leissing, C.; Seifert, W.; Li, Y.; McKeand, W.; Oldenburg, J. IDELVION: A Comprehensive Review of Clinical Trial and Real-World Data. *J. Clin. Med.* 2022, 11, 1071. <https://doi.org/10.3390/jcm11041071>
5. Shapiro AD, Pasi KJ, Ozelo MC, et al. Extending recombinant factor IX Fc fusion protein dosing interval to 14 or more days in patients with hemophilia B. *Res Pract Thromb Haemost.* 2018;00:1–5. <https://doi.org/10.1002/rth2.12163>
6. Carcao M. et al. Long-Term Safety and Efficacy of Nonacog Beta Pegol (N9-GP) Administered for at Least 5 Years in Previously Treated Children with Hemophilia B. *Thromb Haemost* 2020;120:737–746.