

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

Formularz zgłaszania uwag do analiz weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.423.1.27.2023
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych Strensiq (asfotaszum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3)“.

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 przesać 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.

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: Kamila Anna Dratkowicz

Dotyczy wniosku będącego przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych Strensiq (asfotaszum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3)“.

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

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 2021 r., poz. 523)

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 2021 r., poz. 1285 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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.)

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.),
- zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 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.

⁵ niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

30.08.2023

PREZES FUNDACJI
Kamila Anna Dratkowicz
Kamila Anna Dratkowicz

FUNDACJA „HYPOGENEK”

www.hypogenek.pl
NIP: 729-271-18-16
REGON: 36480796000000
KRS 0000624376

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

30.08.2023

PREZES FUNDACJI
Kamila Anna Dratkowicz
Kamila Anna Dratkowicz

FUNDACJA „HYPOGENEK”

www.hypogenek.pl
NIP: 729-271-18-16
REGON: 36480796000000
KRS 0000624376

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMIT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Uwagi ogólne	<p>Hypofosfatazja (HPP) to ultrarządka, choroba genetyczna, zagrażająca zdrowiu i życiu. Prowadzi do zaburzenia mineralizacji kości, licznych złamań, niepełnosprawności zarówno u dzieci jak i u dorosłych a u najmłodszych pacjentów o wczesnym początku do deformacji szkieletu prowadzącej do przedwczesnej śmierci. Chorzy z HPP doświadczają przedwczesnej utraty zębów, objawów reumatologicznych czy powikłań ze strony układu mięśniowego i oddechowego. Mają problemy z nerkami. W przebiegu choroby pojawia się często osłabienie mięśni deformacje kości, trudności w poruszaniu się, a także zahamowanie wzrostu i opóźniony rozwój motoryczny. Nawet co trzecie dziecko z HPP porusza się na wózku inwalidzkim. Ogromny ból towarzyszący pacjentom każdego dnia i liczne ciągle powtarzające się złamania uniemożliwiają normalne funkcjonowanie, wyłączają z życia społecznego i zawodowego zarówno chorego jak i całą jego rodzinę.</p> <p>Rodzice dzieci z hypofosfatazją żyją w permanentnym stresie związanym z ryzykiem przedwczesnej śmierci u ich dziecka czy nieodwracalnym kalectwem. Przez cały czas obawiają się o zdrowie i życie swoich dzieci, które cierpią. Powtarzające się liczne zabiegi operacyjne związane z potrzebą ustabilizowania kości w przypadku pacjentów dorosłych jak i opieka nad dzieckiem chorym na hypofosfatazję powodują liczne nieobecności w pracy, a w wielu przypadkach są przyczyną całkowitej rezygnacji rodzica czy pacjenta z pracy zawodowej. Ta choroba niszczy marzenia, skazuje na niepełnosprawność zabiera radość z życia młodym dorosłym którzy, gdyby tylko mieli dostęp do skutecznej terapii mogliby żyć normalnie.</p> <p>Tymczasem w obawie przed złamaniami czy w wyniku wstydu związanego z wypadającym uzębieniem pacjenci często zamykają się w sobie, nie chcą wychodzić z domu. Czują strach, dyskomfort i wstyd. Popadają w depresję, izolują się od społeczeństwa.</p> <p>Obecnie w Polsce stosowane jest jedynie leczenie objawowe w postaci leczenia bólu, stosowania preparatów wapnia, witaminy D i K oraz bisfosfonianów w połączeniu z rehabilitacją, zabiegami chirurgicznymi i ortopedycznymi. W przypadku niemowląt z deformacjami klatki piersiowej stosowana jest także mechaniczna wentylacja. Niestety nie jest to leczenie wystarczające i w przypadku leków stosowanych w złagodzeniu bólu nie pozostaje obojętne dla zdrowia. Często stosowane w leczeniu bólu leki mogą zmniejszać gęstość kości, zwiększać ryzyko atypowych złamań i nasilać powikłania kostne i prowadzić do dalszego osłabienia mięśni a nawet uzależnienia. Jediną szansą dla pacjentów z hypofosfatazją na normalne życie jest enzymatyczna terapia zastępcza w postaci asfotazy alfa. To przełomowa terapia, która odmienia życie pacjentów. Pod opieką naszej fundacji jest czwórka dzieci, u których zastosowano tę terapię w ramach badań klinicznych i darowizn. Dzięki asfotazie alfa dziś mogą normalnie żyć rosnać i rozwijać się tak jak ich rówieśnicy. Poruszają się a nawet biegają samodzielnie, chodzą do szkoły i przedszkola. Choroba u nich została zatrzymana. Taką szansę powinni również otrzymać inni pacjenci z</p>

	hypofosfatazja. Tylko dzięki zastosowaniu tej terapii będziemy mogli uniknąć u nich niepełnosprawności w przyszłości i wielu rodzinnych tragedii.

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

3. Uwagi do analiz wnioskodawcy*

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.

* 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.)

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.