

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

<b>Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:</b>	
<b>Numer:</b>	OT.423.1.33.2023
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”

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 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 Konflikту 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 konflikту 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:** .....

KATA OZYNIA KOZŁOWSKA

Dotyczy wniosku będącego przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”.

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

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

<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 2021 r., poz. 523)

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

<sup>4</sup> zaznaczyć tylko 1 pole

~~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 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 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 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.

.....  
.....

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

.....  
.....  
.....

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

17/09/2023 *[Signature]*  
.....

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**

17/9/2023 *[Signature]*  
.....

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Uwagi ogólne	<p>Miastenia zaliczana jest do chorób nerwowo-mięśniowych, które znajdują się w centrum zainteresowań i działalności Polskiego Towarzystwa Chorób Nerwowo-Mięśniowych. PTCHNM jest ogólnopolską organizacją pozarządową, zarejestrowaną w 1989 roku, a zatem działającą na rzecz pacjentów już od 33 lat.</p> <p>Miastenia jest jedną z najczęściej występujących rzadkich chorób neurologicznych. Dzięki postępowi medycyny i obecnie dostępnym terapiom u wielu pacjentów chorych na miastenię udaje się kontrolować chorobę, minimalizować jej objawy, a tym samym znacznie poprawiać ich jakość życia.</p> <p>Z dyskusji, które prowadzimy zarówno z pacjentami jak i z lekarzami zajmującymi się miastenią jasno wynika, że dla zdecydowanej większości z około ośmiu tysięcy pacjentów, którzy mieli rozpoznaną miastenię obecnie oferowane rozwiązania terapeutyczne są w większości przypadków wystarczające. Warto tutaj nadmienić, że terapie te, to w większości leki o szerokim spektrum zastosowania, które nie są specyficzne dla miastenii (sterydy, niesterydowe leki immunosupresyjne) i mogą powodować działania niepożądane, które u części pacjentów powodują obniżenie jakości i liczne ograniczenia w życiu codziennym takie jak problemy z planowaniem ciąży w czasie sterydoterapii.</p> <p>Poza grupą, która dobrze toleruje aktualnie stosowane leczenie istnieje też grupa pacjentów o dużo cięższym i mocno zaawansowanym przebiegu choroby, u których standardowa terapia nie zawsze przynosi oczekiwane efekty poprawy. W tej grupie pacjentów, którzy są aktualnie leczeni wieloma lekami mogą występować różnorodne objawy choroby, które wpływają na ich codzienne funkcjonowanie. To właśnie u tej szczególnej grupy chorych istnieje wysokie ryzyko wystąpienia przełomu miastenicznego i dlatego mogą oni wymagać podawania zaawansowanych leków lub zastosowania mocno skomplikowanych procedur medycznych które są dostępne tylko w warunkach szpitalnych.</p> <p>W naszej opinii, tacy chorzy o wyjątkowo ciężkim i skomplikowanym przebiegu choroby mogą najbardziej skorzystać z dostępu do nowoczesnych, celowanych leków, z których pierwszym i mamy nadzieję nie ostatnim, który przechodzi przez proces refundacyjny jest efgartigimod. Chcemy podkreślić, że w naszej opinii, dzięki zastosowaniu efgartigimodu możemy nie tylko zdecydowanie poprawić jakość życia kilkuset pacjentów, ale jednocześnie obniżyć ryzyko występowania przełomów miastenicznych, które w ekstremalnych sytuacjach mogą prowadzić do śmierci chorych ze względu na silną niewydolność oddechową.</p> <p>Dla tych pacjentów, pojawia się szansa na zdecydowanie wyższy standard życia a dla płatnika będzie to związane ze znacznym obniżeniem wydatków związanych z hospitalizacją i kosztownymi procedurami ratunkowymi.</p> <p>W Polsce mamy dużą grupę pacjentów, którzy brali udział w badaniach klinicznych efgartigimod. Opinie pacjentów są jednoznaczne – nawet nie</p>

	<p>wiedząc o tym czy mieli podawany lek czy placebo, po prostu odczuwali wyraźną zmianę i poprawę wynikającą ze stosowanej terapii.</p> <p>Jako PTCHNM będąc jedną z najdłużej działających organizacji pacjentów zajmujących się pacjentami chorującymi na miastenię jedną z wielu chorób nerwowo-mięśniowych apelujemy o szybkie wprowadzenie na listę refundacyjną wszystkich innowacyjnych leków, które są przełomem w leczeniu miastenii.</p>

\* 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,	Uwagi

<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.)

wykresu, strony)	

\* 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.

