

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTM:	
Numer:	BIP – 056, analiza AOTM-OT-4351-7/2012
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny urzędowej leku Exjade (deferazyroks) 250 mg, 28 tabl., EAN 5909990613021, 500 mg, 28 tabl., EAN 5909990613045 we wskazaniu: leczenie doustne stanów nadmiaru żelaza w organizmie

Uwagi (pkt. 2) wraz z wypełnioną i własnoręcznie podpisaną Deklaracją Konflikty Interesów (pkt. 1) należy złożyć w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych, ul. I. Krasickiego 26, 02-611 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 AOTM po upływie tego terminu nie będą rozpatrywane.

UWAGA! Zgłoszone uwagi i deklaracja konfliktu interesów będą publikowane w BIP AOTM².

1. Deklaracja konfliktu interesów (DKI)³ – do wypełnienia w przypadku uwag do analizy weryfikacyjnej

Imię i nazwisko osoby składającej DKI dotyczącej złożenia uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej:MICHAŁ MATYSIAK

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

Czego dotyczy DKI:

- Udział w posiedzeniu Rady Przejrzystości – członka Rady Przejrzystości w dniu;
- Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości dotyczącego:...
- Udział w posiedzeniu Rady Przejrzystości eksperta z dziedziny medycyny, której dotyczą omawiane na posiedzeniu wnioski lub informacje w dniu;
- Udział w posiedzeniu Rady Przejrzystości innej osoby zaproszonej przez przewodniczącego Rady, w dniu;
- Udział w posiedzeniu Rady Przejrzystości osoby przygotowującej opinie w trakcie procesu analitycznego, dotyczące prowadzonych przez Agencję ocen technologii medycznych lub świadczeń opieki zdrowotnej, w dniu;

Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej,

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 2011 r. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.)

² zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008, Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.)

³ o której mowa w art. 31s ust. 9 i 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008, Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.)

UWAGA!

Część A należy wypełnić w przypadku występowania konfliktu interesów.

Część B należy wypełnić w przypadku braku konfliktu interesów.

Część A

Oświadczam, że ja, mój małżonek/moja małżonka, mój zstępny lub wstępny w linii prostej, osoba, z którą/ osoby, z którymi pozostaję we wspólnym pożyciu⁴, wykonuję/ją zajęcia zarobkowe na podstawie

Stosunku pracy

Umowy o świadczenie usług zarządczych

Umowy zlecenia

Umowy o dzieło

Innej umowy o podobnym charakterze

na rzecz podmiotów określonych w art. 31s ust. 8 pkt 1-3 (cytowany poniżej)

„8. Członkowie Rady Przejrzystości, ich małżonkowie, zstępni i wstępni w linii prostej oraz osoby, z którymi członkowie Rady Przejrzystości pozostają we wspólnym pożyciu, nie mogą:

- 1) być członkami organów spółek handlowych lub przedstawicielami przedsiębiorców prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym;
- 2) być członkami organów spółek handlowych lub przedstawicielami przedsiębiorców prowadzących działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych;
- 3) być członkami organów spółdzielni, stowarzyszeń lub fundacji prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2;”

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.

NIE dotyczy

⁴ niepotrzebne skreślić


Oświadczam, pod rygorem odpowiedzialności karnej za składanie fałszywych oświadczeń z art. 233 § 1 i 6 ustawy z dnia 6.06.1997r. Kodeks karny (Dz. U. 1997 Nr 88, poz. 553 z późn. zm.), że według mojej najlepszej wiedzy powyższe dane są zgodne ze stanem faktycznym i kompletne. Wyrażam zgodę na gromadzenie, przetwarzanie i udostępnianie moich danych osobowych w celu identyfikacji konfliktu interesów zgodnie z ustawą o ochronie danych osobowych z dnia 29.08.1997 r. (Dz. U. Nr 133, poz. 883 z późn. zm.).

Data składania i podpis osoby składającej DKl 12.08.2012 

Część B

Oświadczam, iż z uwagi na niewystępowanie okoliczności określonych w art. 31s ust. 9 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), dotyczących mojej osoby, mojego małżonka/mojej małżonki, moich zstępnych lub wstępnych w linii prostej, osoby, z którą/ osób, z którymi pozostaję we wspólnym pożyciu, nie jestem w konflikcie interesów.

Oświadczam, pod rygorem odpowiedzialności karnej za składanie fałszywych oświadczeń z art. 233 § 1 i 6 ustawy z dnia 6.06.1997r. Kodeks karny (Dz. U. 1997 Nr 88, poz. 553 z późn. zm.), że według mojej najlepszej wiedzy powyższe dane są zgodne ze stanem faktycznym i kompletne. Wyrażam zgodę na gromadzenie, przetwarzanie i udostępnianie moich danych osobowych w celu identyfikacji konfliktu interesów zgodnie z ustawą o ochronie danych osobowych z dnia 29.08.1997 r. (Dz. U. Nr 133, poz. 883 z późn. zm.).

Data składania i podpis osoby składającej DKl 12.08.2012 

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTM

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
7.0 str 66	<p>Nie zgadzam się z autorami analizy weryfikacyjnej że poszerzenie grupy docelowej o „innych pacjentów z nadmiarem żelaza w organizmie”, oznacza jak piszą autorzy analizy „o takich, u których nadmiar żelaza nie jest wynikiem częstych transfuzji krwi.” Wskazania do częstych transfuzji krwi, a tym samym wzrost ryzyka nadmiaru żelaza występują bowiem nie tylko u chorych wymienionych w ChPL. Pacjenci ci, na pewnych etapach terapii, wymagają więc leczenia chelatującego, gdyż jego brak pogarsza efekty leczenia choroby podstawowej lub nasila jej skutki.</p> <p>Uważam że autorzy analizy powinni skupić się na problemie nadmiaru żelaza i jego zapobieganiu, gdyż to w konsekwencji obniża całkowite koszty terapii i zwiększa rokowanie chorych, a nie na jednostkach chorobowych wpisanych do ChPL.</p>
7.0 str 68	<p>Oznaczanie stężenia ferrytyny uznawane jest powszechnie za najlepszy marker w ocenie nadmiaru żelaza nie tylko z uwagi na cenę, ale i na łatwość jego oznaczania, a tym samym dostępność tej metody.</p> <p>Cytowane przez autorów analizy oznaczenie stężenia żelaza w wątrobie, jest bezsprzecznie badaniem o dużej wartości diagnostycznej w poprzetoczeniowym przeciążeniu żelazem, ale zarazem badaniem niedostępnym w bardzo wielu ośrodkach, co czyni tą metodę mało przydatną w codziennej praktyce lekarskiej</p>

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

3. Uwagi do analiz wnioskodawcy⁵

a. Uwagi do analizy klinicznej

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
3.4	<p>Przedstawiona ocena dotycząca deferasiroxu zawiera bogaty materiał naukowy, natomiast uważam, że wnioski na temat jego skuteczności wyciągnięte z analizy tego bardzo niejednorodnego materiału, są dość daleko idące. Uważam, że lek ten jest potrzebny szczególnie w pediatrii. Sami autorzy analizy cytują dowody na wysoką skuteczność deferasiroxu porównując ją do skuteczności deferoksaminy, a także omawiają wiele badań pokazujących sens leczenia deferasiroxem</p> <p>W analizie potraktowano marginesowo najważniejszy wg mnie powód leczenia deferasiroxem, którym jest akceptacja przez pacjenta, a szczególnie pacjenta pediatrycznego, zaleceń lekarza w tym dotyczących drogi podania leku. Z własnej praktyki wiem, że przewlekłe podawanie leku drogą inną niż doustna, wiąże się z bardzo dużym odsetkiem nieprzestrzegania zaleceń lekarskich i tym samym zaprzestania terapii. Brak akceptacji przez pacjenta drogi podania leku powoduje przerwanie terapii i narastanie objawów przeładowania żelazem, prowadząc do uszkodzeń i niewydolności narządowych, a w konsekwencji do kalectwa i zwiększenia kosztów opieki medycznej nad chorym.</p> <p>Kolejną moją uwagą do wniosków wyciągniętych z załączonych analiz jest, podkreślany zresztą przez samych autorów analizy, fakt, małej liczebności badanych grup i to, że większość cytowanych badań to badania obserwacyjne.</p> <p>Z drugiej strony o skuteczności deferasiroxu świadczy fakt umieszczenia tego leku w wielu cytowanych w analizie rekomendacjach i to zarówno jako leku pierwszego jak i drugiego rzutu, a także jego akceptacja w tym wskazaniu przez FDA i EMEA co</p>

⁵ 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 2011 r. Nr 122 poz. 696 z późn. zm.)

zawarto w cytowanej analizie
To wszystko w połączeniu z cytowaną powyżej akceptacją przez pacjent doustnej
formy terapii jest wg mnie bardzo istotnym argumentem przemawiającym za
stosowaniem deferasiroxu w pediatrii

* 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.

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.

KIEROWNIK
Katedry i Kliniki
Pediatrii, Hematologii i Onkologii
Prof. dr hab. n. med. Michał Matysiak