



Załącznik nr 1 do Zarządzenia Nr 28/2015
Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych
i Taryfikacji
z dnia 2 stycznia 2015 r.

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4351.1.2017
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Venclyxto (venetoclaxum) w ramach programu „Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej wenetoklaksem (ICD-10 C91.1)”

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. 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 AOTMiT 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:

.....

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

.....

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 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. 12 i 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008, Nr 164, poz. 1027 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 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.),

v **zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 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.

v 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.

....udział w spotkaniu zespołu ekspertów dotyczącym programu lekowego pt. Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej wenetoklaksem.....

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DZI ...15.12.2017...



⁵ niepotrzebne skreślić

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Rozdz. 4.1.3.2, Strona 21, Akapit Dodatkowe ograniczenia zidentyfikowane przez analityków AOTMiT oraz Rozdz. 8, str. 45	<p>Komentarz do danych klinicznych przedstawionych we wniosku: Chorzy na przewlekłą białaczkę limfocytową z delecją 17p/mutacją TP53 cechują się szczególnie złym rokowaniem i krótkim czasem przeżycia wobec braku skuteczności chemioterapii i immunochemioterapii z przeciwciałem anti-CD20. Wprowadzenie do leczenia nowych cząsteczek o odmiennym mechanizmie działania – inhibitorów BCR (receptor limfocyty B) – ibrutynibu i idelalazybu oraz antagonisty Bcl2-2 - wenetoklaksu stanowiło niewątpliwą przełom, w istotny sposób wpływając na zwiększenie odsetek odpowiedzi i wydłużenie całkowitego czasu przeżycia chorych. W chwili obecnej w Polsce chorzy otrzymują ibrutynib w ramach programu wczesnego dostępu firmy Janssen, lek uzyskał również refundację u chorych z nawrotową/oporną PBL z del17p/mutacją TP53. Idelalazyb nie jest refundowany w Polsce, niewielka grupa chorych otrzymuje lek w ramach programu wczesnego dostępu firmy Gilead. Wiadomo, że ibrutynib nie zapewnia wyleczenia białaczki, progresja w razie pojawiania się oporności następuje bardzo szybko – nie dysponujemy jako lekarze, żadną skuteczną opcją leczenia w takiej sytuacji klinicznej. Nawet biorąc pod uwagę transplantację allogeniczną komórek krwiotwórczych nie ma skutecznej opcji terapeutycznej, która pozwoliłaby uzyskać remisję – niezbędny warunek do powodzenia procedury transplantacji. Zważywszy na pozytywną decyzję refundacyjną dotyczącą imbrutynibu należy mieć również świadomość, że większość działań niepożądanych występuje w ciągu pierwszych sześciu miesięcy leczenia. Ogólnie, ibrutynib jest lekiem dobrze tolerowanym, jednak dane literaturowe i doświadczenia własne z programu wczesnego dostępu wskazują, że w początkowym etapie leczenia działania niepożądane są najczęstszą przyczyną odstawienia terapii. Dla tych pacjentów, podobnie jak w przypadku progresji białaczki w trakcie leczenia ibrutynibem, wenetoklaks byłby terapią ratującą życie.</p> <p>W chwili obecnej wenetoklaks jest najskuteczniejszą, zalecaną w międzynarodowych rekomendacjach (ESMO, NCCN) opcją leczenia chorych na oporną/nawrotową PBL delecją 17p/mutacja TP53 i/lub niepowodzeniu leczenia inhibitorem kinazy Brutona – ibrutynibem. Świadczą o tym wyniki badania II fazy Jonesa i wsp. (M14-032) – brak jest publikacji pełnotekstowej, ale należy uwzględnić fakt prezentacji wyników na najbardziej prestiżowej konferencji hematologicznej, jaką jest Zjazd Amerykańskiego Towarzystwa Hematologii. Brak jest</p>

	<p>badania III fazy, ale trzeba pamiętać, że dla grupy chorych z del17p/mutacją TP53 nie było dotychczas skutecznej opcji terapeutycznej i nie ma standardu postępowania jako porównania dla wenetoklaksu u chorych po niepowodzenia leczenia inhibitorem BCR. Dlatego dostępność do wenetoklaksu jest dla tej grupy chorych bardzo ważna i stanowi jedyną szansę uzyskania odpowiedzi i poprawy ich rokowania. U części chorych leczenie nie będzie prowadzone w sposób ciągły do progresji lub toksyczności, lecz stanowić będzie leczenie „pomostowe” przed kwalifikacją do allogenicznego przeszczepienia komórek krwiotwórczych. Oczywiście optymalne było zapewnienie dostępu do leku również chorym z del17p/mutacją TP53, ale chorzy Ci mają możliwość leczenia ibrutynibem, natomiast wobec braku refundacji idelalazybu, chorzy, którzy otrzymali ibrutynib nie mają żadnej dostępnej opcji terapii</p>

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

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

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

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.