

AGENCJA OCENY
TECHNOLOGII MEDYCZNYCH
I TARYFIKACJI

2018 -01- 12

Sekretariat Główny

lp. z kontr.wpł. 352

liczba zał.

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.4331.7.2017
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Praluent (alirokumab) w ramach programu lekowego „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej alirokumabem (ICD-10 E78.01)”.

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. 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:Andrzej Rynkiewicz.....

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

Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Praluent (alirokumab) w ramach programu lekowego „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej alirokumabem (ICD-10 E78.01)”.

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~~

Oświadczam, że w stosunku do mnie mojego małżonka/mojej małżonki, mojego zstępnego lub wstępnego w linii prostej, osoby, z którą/osób, z którymi pozostają we wspólnym pożyciu⁵:

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

- 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.),
- 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.
 - 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.

Udział w Advisory Board firmy Sanofi, wykłady dla firmy Sanofi.....

.....

.....

.....

.....

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DK! ...

12.01.2017 Andrzej Rynkiewicz

Katedra Kardiologii i Kardiologii
 Uniwersytet Warmińsko-Mazurski
 Klinika Kardiologii i Chorób Wewnętrznych
 Miejski Szpital Zespolony w Olsztynie
 ul. Niepodległości 44, 10-045 Olsztyn
KIEROWNIK KATEDRY I KLINIKI
 prof. dr hab. n. med. Andrzej Rynkiewicz

⁵ niepotrzebne skreślić

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
<p>Rozdział 4.1.3.2 str. 28 Rozdział 12, Tabela 52 str. 79</p>	<p>Populacja pacjentów w zakończonych badaniach klinicznych jest szersza od populacji, w której technologia wnioskowana ma być refundowana.</p> <p>Pacjenci z hipercholesterolemią rodzinną (FH), wskazani w propozycji programu lekowego, stanowią grupę chorych z wybitnie niezaspokojonymi potrzebami zdrowotnymi z powodu utrzymujących się znacznie powyżej celu terapeutycznego zalecanego w wytycznych stężeń cholesterolu LDL, pomimo leczenia skojarzonego wysokimi dawkami statyn i ezetymibem (LDL-C > 200 mg/dl w prewencji wtórnej i LDL-C > 300 mg/dl w prewencji pierwotnej). Niezwykle wysokie stężenie LDL-C u intensywnie leczonych chorych stanowi ekstremalnie wysokie ryzyko zgonu sercowego i innych poważnych zdarzeń sercowo-naczyniowych i bezwzględnie wymagają intensyfikacji aktualnie dostępnego leczenia. Zgodnie z aktualnymi wytycznymi Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego i Europejskiego Towarzystwa Miażdżycowego (ESC/EAS) z 2016 roku oraz innych towarzystw i instytucji u takich chorych można zastosować leczenie inhibitorami PCSK9 (kryteria kwalifikacji do leczenia w proponowanym programie są bardziej rygorystyczne niż zastosowane w ramach wytycznych ESC/EAS, ograniczające liczbę potencjalnych chorych w Polsce z dostępem do programu, co dyktowane jest zrozumieniem organicznych krajowych możliwości finansowych z jednej strony oraz próbą udostępnienia skutecznej terapii dla najbardziej zagrożonych i potrzebujących pacjentów z hipercholesterolemią rodzinną). W Polsce u chorych, którzy spełniają kryteria proponowanego programu lekowego redukcja stężenia LDL-C możliwa jest przez zastosowaniu LDL aferezy, procedury drogiej, mało dostępnej i obciążonej ryzykiem istotnych powikłań.</p> <p>Międzynarodowe programy badawczy alirokumabu obejmują min. cztery badania dedykowane pacjentom z FH (wśród pacjentów obserwowanych w badaniach znajdowali się chorzy o charakterystyce spełniającej kryteria proponowanego programu lekowego). Udowodniona niezwykła skuteczność alirokumabu w redukcji stężenia LDL-C u pacjentów z FH jest niezależna od wyjściowego stężenia LDL-C i stosowanej terapii podstawowej. Umożliwienie w Polsce leczenia alirokumabem pacjentów z FH spełniających kryteria programu lekowego pozwoli na dostęp do terapii dla chorych z wybitnie dużymi niezaspokojonymi potrzebami medycznymi w zakresie redukcji ryzyka przedwczesnego zgonu i poważnych powikłań sercowo-naczyniowych. Hipercholesterolemia rodzinna (FH) jest jedną z najczęściej występujących chorób monogenowych, powodującą rozwój miażdżycy od dzieciństwa, grożącą przedwczesnym zgonem (przed erą statyn 50% śmiertelność przed 50 rokiem życia wśród mężczyzn z FH) i incydentami sercowo-naczyniowymi w młodym wieku. Wyzwanie dla medycyny w FH odzwierciedla nazwa organizacji Make Early Diagnosis Prevent Early Death.</p>

	<ol style="list-style-type: none"> 1. Catapano AL, Graham I, De Backer G, et al. 2016 ESC/EAS Guidelines for the Management of Dyslipidaemias: The Task Force for the Management of Dyslipidaemias of the European Society of Cardiology (ESC) and European Atherosclerosis Society (EAS) Developed with the special contribution of the European Association for Cardiovascular Prevention & Rehabilitation (EACPR). <i>Atherosclerosis</i> 2016;253:281–344. 2. Rynkiewicz A, Cybulska B, Banach M, et al. Management of familial heterozygous hypercholesterolemia: Position Paper of the Polish Lipid Expert Forum. <i>J Clin Lipidol</i> 2013;7(3):217–221. 3. Ginsberg HN et al. Efficacy and Safety of Alirocumab in Patients with Heterozygous Familial Hypercholesterolemia and LDL-C of 160 mg/dl or Higher. <i>Cardiovasc Drugs Ther.</i> 2016 Oct;30(5):473-483 4. Kastelein JJ et al. Efficacy and safety of the proprotein convertase subtilisin/kexin type 9 monoclonal antibody alirocumab vs placebo in patients with heterozygous familial hypercholesterolemia. <i>J Clin Lipidol.</i> 2017 Jan - Feb;11(1):195-203.e4. 5. Moriarty PM et al. Alirocumab in patients with heterozygous familial hypercholesterolemia undergoing lipoprotein apheresis: the ODYSSEY ESCAPE trial. <i>Eur Heart J.</i> 2016 Dec 21;37(48):3588-3595 6. Reiner Z, Catapano AL, De Backer G et al. ESC/EAS guidelines for management of dyslipidemias of the European Society of Cardiology (ESC) and the European Atherosclerosis Society (EAS). <i>Eur Heart J.</i> 2011; 32: 1769–1818. 7. Watts GF, Gidding S, Wierzbicki AS, et al. Integrated guidance on the care of familial 8. Familial Hypercholesterolemia. A Report of a WHO consultation. WHO. Geneva, Switzerland, 1998.
--	---

* 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.

c. Uwagi do analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych

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

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.)

* 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.