



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.4331.4.2018
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Kyprolis (karfilzomib) w ramach programu lekowego: "Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka mnogiego (ICD-10: C90.0)"

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. Karolkowa 30, 01-207 Warszawa, bądź przelać 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: Prof. dr hab. Dariusz Wołowicz

Dotyczy wniosku będącego przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Produktu leczniczego **Kyprolis (karfilzomib)** we wskazaniu: w ramach programu lekowego: **"leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka mnogiego (ICD-10: C90.0)"**

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 2017r., poz. 1844 z późn. zm.)

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 2017, poz. 1938 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 2017, poz. 1938 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 2017 r., poz. 1938.),

~~zachodzą~~ okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938.), 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.

Nie dotyczy

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI 02.06.2018 *Marcina Walszewska*

⁵ niepotrzebne skreślić

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>Szpiczak plazmocytowy stanowi ok. 15% chorób onkohematologicznych. Zgodnie z obserwacjami lekarzy klinicystów i z danymi Krajowego Rejestru Nowotworów obserwuje się w ostatnich latach tendencję wzrostową liczby zachorowań w Polsce. W ostatniej dekadzie bowiem liczba nowych zachorowań na szpiczaka plazmocytoowego i nowotwory złośliwe z komórek plazmatycznych (C90, z czego ok. 95% rozpoznaje się jako szpiczak plazmocytoowy) zwiększyła się z 1 247 do 1 541 (rok 2015). Pomimo dynamicznego rozwoju nowych technologii leczniczych w szpiczaku plazmocytoowym, w tym leków immunomodulujących oraz inhibitorów proteasomu nowej generacji jak również przeciwciał monoklonalnych, dostęp polskich pacjentów do tych metod leczniczych jest w chwili obecnej bardzo ograniczony. Powoduje to, że leczenie pacjentów z chorobą oporną/nawrotową, szczególnie w trzeciej i kolejnych liniach jest bardzo trudne pomimo że zarejestrowane są w Unii Europejskiej i USA leki skuteczne w tych wskazaniach. Należy tu podkreślić, że od niemal 5 lat nie wydano pozytywnej decyzji refundacyjnej dla żadnej nowej metody leczenia szpiczaka plazmocytoowego. Oceniany przez AOTMiT program lekowy (karfilzomib w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem lub tylko z deksametazonem) uzyskał w listopadzie 2015 rejestrację do leczenia dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytoowym, u których wcześniej zastosowano przynajmniej jeden schemat leczenia. Zgodnie z wynikami badania ASPIRE, będącego badaniem rejestracyjnym dla karfilzomibu (Siegel DS. i wsp. J Clin Oncol 2018 36:728-734), dodanie karfilzomibu do schematu rewlimid-deksametazon spowodowało istotnie znamienne wydłużenie mediany przeżycia (OS) o 7,9 miesiąca i zmniejszyło ryzyko zgonu o 21% w stosunku do schematu Rd. Zastosowanie karfilzomibu w skojarzeniu z Rd u chorych, którzy otrzymali jeden poprzedzający cykl leczenia, wydłużyło medianę OS o 11,4 mies. Co istotne, istotne przedłużenie przeżycia (o 12 miesięcy) zaobserwowano też dla chorych uprzednio leczonych bortezomibem. Ta poprawa przeżycia została uzyskana przy akceptowalnym profilu toksyczności leku.</p> <p>Powyższe badanie dokumentuje możliwość uzyskania przez dodanie karfilzomibu do lenalidomidu z deksametazonem jednego z najlepszych wyników w zakresie poprawy OS dla subpopulacji pacjentów zbliżonych do tych, dla których jest dedykowany przedmiotowy program lekowy. Należy jedynie mieć na względzie, że w badaniu ASPIRE chorzy mogli otrzymać maksymalnie do 18 cykli schematu, natomiast w ocenianym programie leczenie jest przewidziane na krótszy okres, bo do uzyskania bardzo dobrej odpowiedzi częściowej.</p>

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

3. Uwagi do analiz wnioskodawcy⁶

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 2016r., poz. 1536 z późn. zm.)

Artem Włodarczyk

6

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.

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.

Merian Włocławek

7470927 Prof. dr hab. n. med. DARIUSZ WŁOCŁAWIEC
specjalista chorób wewnętrznych
specjalista hematolog
50-519 Wrocław, ul. Gajowa 38/9
tel. 0 71/ 784 25.75