

Załącznik nr 1 do Zarządzenia Nr 30/2018  
Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych  
i Taryfikacji z dnia 24 maja 2018 r.

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4331.28.2019
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Galafold (migalastat) w ramach programu lekowego: "Leczenie choroby Fabry'ego"

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 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 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:

JOLANTA SMUT-CEGIELSKA

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

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 2019 r., poz. 784)

<sup>2</sup> zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.)

<sup>3</sup> o której mowa w art. 31s ust. 12 i 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, 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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.)

**zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, 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.*

.....

.....

.....

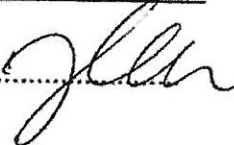
.....

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

.....  
.....  
.....  
Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

25.07.2018




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

25.07.2018





KONSULTANT KRAJOWY W DZIEDZINIE PEDIATRII METABOLICZNEJ

Dr hab. n. med. Jolanta Sykut-Cegielska, Prof. IMiD

Instytut Matki i Dziecka

Klinika Wrodzonych Wad Metabolizmu i Pediatrii

Zakład Badań Przesiewowych i Diagnostyki Metabolicznej

01-211 Warszawa, ul. Kasprzaka 17A, tel. 22 32 77 375, fax 22 32 77 043, tel. kom. 519 517 104

e-mail: [jolanta.cegielska@imid.med.pl](mailto:jolanta.cegielska@imid.med.pl), [www.pediatrmetaboliczna.pl](http://www.pediatrmetaboliczna.pl)

---

L.dz. KK/0-73/PM/28-01/19

Warszawa, dnia 25. lipca 2019

Pan  
Dr n. med.  
Roman Topór-Mądry  
Prezes  
Agencji Oceny Technologii  
Medycznych i Taryfikacji

Dotyczy: OT.4331.28.2019

Szanowny Panie Prezesie,

Poniżej przedstawiam swoje uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej ws preparatu migalastat (Galafold®).

Migalastat (Galafold®) jest farmakologicznym czaperonem, który umożliwia selektywne i odwracalne wiązanie z wysokim powinowactwem z miejscami aktywnymi niektórych zmutowanych postaci alfa-galaktozydazy A tj. enzymu, którego niedobór powoduje chorobę Fabry'ego. Działanie migalastatu polega więc na stabilizacji zmutowanych postaci enzymu, co ułatwia przejście z retikulum endoplazmatycznego do lizosomu, przywracając w ten sposób możliwość funkcjonowania enzymu tj. katabolizm substratu.

Spośród ponad 900 różnych patogennych mutacji odpowiedzialnych za wystąpienie choroby Fabry'ego, 600 mutacji było badanych pod kątem wrażliwości na migalastat, z czego 45% okazało się tzw. mutacjami wrażliwymi na działanie czaperonu migalastatu. W dotychczasowej praktyce klinicznej stosowania migalastatu w krajach europejskich ok. 30-40% zidentyfikowanych pacjentów miało te

mutacje wrażliwe, więc mogło być zakwalifikowanych do leczenia migalastatem. Dostępne opublikowane dane oceniające skuteczność podawania migalastatu zarówno u pacjentów do tej pory nie leczonych, jak i tych będących uprzednio na enzymatycznej terapii zastępczej, wskazują na zwiększenie aktywności alfa-galaktozydazy A, poprawę biochemicznych markerów choroby oraz na poprawę kliniczną, szczególnie w zakresie funkcji mięśnia sercowego u chorych mężczyzn i kobiet.

W mojej opinii wybór metody leczenia w chorobie Fabry'ego, której obraz kliniczny bywa różny – postaci klasyczne i warianty, powinien być indywidualny i zależny przede wszystkim od fenotypu klinicznego. Dlatego terapia w chorobie Fabry'ego to przykład medycyny spersonalizowanej. Dodatkowo doustna droga podania leku, jako zdecydowanie wygodniejsza dla pacjentów (w porównaniu z dożylnym co dwutygodniowym podawaniem enzymu) jest preferowaną terapią, oczywiście gdy spełnione są warunki skuteczności zgodnie z ChPL.

Podsumowując, uważam że finansowanie ze środków publicznych w ramach programu lekowego preparatu migalastat dla pacjentów z chorobą Fabry'ego, którzy mogą być zakwalifikowani do tej terapii, jest w pełni uzasadnione.

Z poważaniem

KONSULTANT KRAJOWY  
działania  
przebiegu choroby  
Dr hab. n. med.  
Jolanta Sykuta-Cegielska, Prof. IMiD