

2019 -11- 22

Sekretariat Główny

Taryfikacji
liczba zał. 9043

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

Formularz zgłaszania uwag do raportu AOTMiT:

Numer:	OT.4320.11.2019
Tytuł:	Wniosek o wydanie opinii w sprawie włączenia produktu Hemlibra (emicizumab) w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023” we wskazaniu: leczenie chorych na hemofilię A z inhibitorami czynnika VIII. (OT.4320.11.2019)

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. 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 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. med. Maria Podolak-Dawidziak

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

Produktu leczniczego **Hemlibra (emicizumab)** do leczenia chorych na hemofilię A z inhibitorami czynnika VIII, w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej pn. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023 (OT.4320.11.2019).

Czego dotyczy DKI⁴:

Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości

-dotyczącego:

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 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

Złożenie uwag w związku z upublicznilnym 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:

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 z późn. zm.),

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

pełnienie funkcji członka organów spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzącego działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywcym 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 spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych;

pełnienie funkcji członka organów spółdzielni, stowarzyszeń lub fundacji prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych;


posiadanie akcji lub udziałów w spółkach handlowych prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, oraz udziałów w spółdzielniach prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych.

prowadzenie działalności gospodarczej w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywcym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalności gospodarczej w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywcym 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.

.....
.....
.....
.....

⁵ niepotrzebne skreślić



Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

19.11.2019 *Katarzyna Podolok-Damianek*

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

19.11.2019 *Katarzyna Podolok-Damianek*

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

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

* 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 2016r., poz. 1536 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.

Katedra i Klinika Hematologii, Nowotworów Krwi i Transplantacji Szpiku Uniwersytet
Medyczny im. Piastów Śląskich, Pasteura 4, 50-367 Wrocław
tel: (71) 784 25 76; e-mail: maria.podolak-dawidziak@umed.wroc.pl

Wrocław, 19.11.2019

Sz. Pani
Jadwiga Czeczot
Kierownik Działu Programów Lekowych
Wydział Oceny Technologii Medycznych
Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ul. Przeskok 2
00-032 Warszawa

Dotyczy:

Wniosku o włączenie leku Hemlibra (emicizumab) do leczenia chorych na hemofilię A powikłaną inhibitorem w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023”

Szanowna Pani,

U około 30 % chorych na ciężką hemofilię A (aktywność cz. VIII < 1%) pojawia się inhibitor czyli alloprzeciwciało skierowane przeciw przetaczanemu egzogennemu czynnikowi krzepnięcia VIII zawartemu w koncentracie. Trudna terapia tych chorych polega na hamowaniu krwawień przy pomocy tzw. czynników omijających (koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny, aPCC oraz rekombinowany aktywny czynnik VII, rVIIa) oraz powstawania przeciwciał poprzez wzbudzeniu tolerancji immunologicznej. Do profilaktyki krwawień służył do niedawna tylko aPCC.

Nowy lek, emicizumab, bispecyficzne przeciwciało spełnia jedną z ważnych ról czynnika VIII łącząc czynniki krzepnięcia IX i X, co zapewnia kontynuację procesu krzepnięcia przy minimalnej aktywności własnego (endogennego) cz. VIII.

Napawa dumą, że zaproszono nas do udziału w pionierskich międzynarodowych badaniach klinicznych nad zastosowaniem emicizumabu w profilaktyce u chorych z

hemofilią A powikłaną inhibitorem (Oldenburg J, Mahlangu JN, Kim B, Schmitt C, Callaghan MU, Young G, Santagostino E, Kruse- Jarres R, Negrier C, Kessler C, Valente N, Asikanius E, Levy GG, **Windyga J**, Shima M: *Emicizumab prophylaxis in hemophilia A with inhibitors. N Engl J Med. 2017; 377: 809-818*) oraz bez inhibitora (Pipe SW, Shima M, Lehle M, Shapiro A, Chebon S, Fukutake K, Key NS, Porton A, Schmitt C, **Podolak-Dawidziak M**, Selek Bienz N, Hermans C, Campinha-Bacote A, Kiialainen A, Peerlinck K, Levy GG, Jimenez-Yuste V: *Efficacy, safety, and pharmacokinetics of emicizumab prophylaxis Niven etery 4 weeks in people with haemophilia A (HAVEN 4): a multicentre, open-label, non-randomised phase 3 study. Lancet Haematol 2019; 6: 295-305*).

Dzięki udziałowi w tych badaniach grupa polskich chorych uzyskała szybko dostęp do emicizumabu a my lekarze nabyliśmy własne doświadczenie.

Profilaktyka przy użyciu emicizumabu zapewnia życie bez krwawień około 63 % chorych na hemofilię A powikłaną inhibitorem, a pozostali mają je znacznie rzadziej. Lek podawany jest podskórnie, co umożliwia łatwe samodzielne podawanie.

Opublikowany w 2019 przegląd 39 publikacji wskazuje, że lek jest bezpieczny: spośród 600 leczonych chorych przeciwciała przeciw emicizumabowi pojawiły się u 1 pacjenta, incydenty zakrzepowo-zatorowe u 2 i mikroangiopatia zakrzepowa u 3 chorych. Te niepożądane działania wystąpiły przy jednoczesnym zastosowaniu koncentratu czynnika omijającego (Rodriguez-Merchan EC, Valentino LA: *Emicizumab: review of the literature and critical appraisal. Haemophilia 2019 Jan; 25(1): 11-20*).

Powyższe dane uzasadniają celowość włączenia emicizumabu do leczenia chorych na hemofilię A także w Polsce.

W analizie przedstawionej przez AOTMiT nie został z mocą wskazany cel stosowania emicizumabu u chorych na hemofilię A powikłaną inhibitorem czyli zapobieganie krwawieniom a nie leczenie już zaistniałych. Następstwem tego są dalsze nieadekwatne kalkulacje jak np. wyliczanie kosztu leczenia pojedynczego krwawienia. Nie wydaje się celowe porównywanie danych o emicizumabie z charakterystyki produktu leczniczego ze zużyciem koncentratów leków omijających (aPCC i rVIIa) w Polsce. Porównanie powinno obejmować wyłącznie leki

zarejestrowane do profilaktyki krwawień w hemofilii A powikłanej inhibitorem czyli aPCC vs emicizumab, ale nie rVIIa.

Mam nadzieję, że przedstawione argumenty merytoryczne i nadrzędny cel naszych działań jakim jest umożliwienie życia bez krwawień chorym na hemofilię A powikłaną inhibitorem zapewnią emicizumabowi należne miejsce w module 4 Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023”.

Z wyrazami szacunku,



Prof. dr hab. med. Maria Podolak-Dawidziak

Przewodnicząca Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów
i Transfuzjologów

Członek Rady Naukowej Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne
Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023

