

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

<b>Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:</b>	
<b>Numer:</b>	OT.4331.50.2019
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o objęcie refundacją leku Blincyto (blinatumomab) w ramach programu lekowego: „Leczenie blinatumomabem chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (dzieci)”.

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 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:** Prof. dr hab. n. med. Tomasz Szczepański

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 dotyczące: .....
- Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej .....
- Złożenie uwag w związku z upubliczniętym 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.)

<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 2017 r., poz. 1844 z późn. zm.)

<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

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

**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 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.*

.....

.....

.....

.....

.....

Jestem świadoma/ły odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

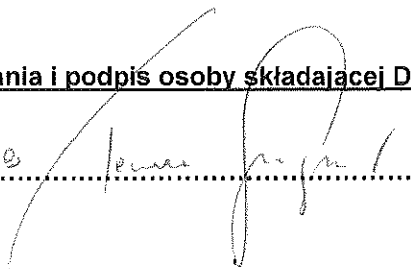
**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

15. 11. 2019 

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

15.11.2019

A handwritten signature in black ink, written over a horizontal dotted line. The signature is stylized and appears to be a first name followed by a surname.

## 1. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Nie dotyczy	<p>1. Terapia lekiem Blincyto w leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej (ALL) jest o 1 lipca 2019 roku refundowana w ramach programu lekowego tylko u dorosłych. Rodzice zadają pytania, dlaczego pomimo rejestracji leku w Unii Europejskiej nie jest on objęty refundacją w ramach programu lekowego w Polsce. Bardzo trudne jest uzasadnienie rodzicom chorych dzieci, dlaczego ich dziecko nie może dostać terapii. Rodzice muszą liczyć na pozytywne rozpatrzenie wniosku o ratunkowy tryb dostępu do leku, a i tak wielu z nich rozpoczyna zbiórkę pieniędzy na leczenie, jednak choroba często postępuje zbyt szybko i nie ma wystarczającego czasu na zbiórkę środków.</p> <p>2. Obecnie u dzieci z ALL opornych na chemioterapię lub po nawrocie po chemioterapii nie ma innej zarejestrowanej opcji leczenia niż Blincyto.</p> <p>3. Dzieci i młodzież po wznowie ALL znajdują się w bardzo trudnej sytuacji, gdyż rokowania w tej grupie chorych są złe, a prowadzona u nich aktualnie chemioterapia jest często nieskuteczna. Celem postępowania w tej szczególnej populacji chorych jest osiągnięcie całkowitej remisji, która pozwala na uzyskanie kontroli nad chorobą i umożliwia przeprowadzenie allo-HSCT – obecnie jedynej opcji pozwalającej na wyleczenie. Niezbędne jest, zatem wprowadzenie dostępnych dla pacjentów nowych opcji terapeutycznych pozwalających na osiągnięcie wyższych odsetków trwałej remisji i przeżycia wolnego od choroby niż przy udziale standardowego postępowania, aby ostatecznie uzyskać wyleczenie. Odpowiedzią na tą niezaspokojoną potrzebę medyczną jest produkt leczniczy Blincyto® zawierający blinatumomab.</p> <p>4. Blinatumomab to innowacyjne bispecyficzne przeciwciało uczestniczące w tworzeniu synapsy cytolitycznej między limfocytom T a komórką nowotworową, w której uwalniane są enzymy proteolityczne niszczące zarówno komórki docelowe proliferujące jak i będące w stanie spoczynku. Produkt leczniczy Blincyto® został uznany przez Amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków za terapię przełomową w tej grupie chorych. Wytyczne NCCN rekomendują leczenie blinatumomabem jako leczenie nadrzędne, wypierając dotychczas stosowane w tej populacji leczenie oparte głównie na tradycyjnej chemioterapii.</p> <p>5. Lek Blincyto ma udowodnioną skuteczność i profil bezpieczeństwa w leczeniu dzieci i młodzieży od 1. roku życia z ostrą białaczką limfoblastyczną (ALL) z komórek prekursorowych linii B bez</p>

chromosomu Philadelphia i z ekspresją antygenu CD19, oporną na leczenie albo nawrotową po wcześniejszym zastosowaniu co najmniej dwóch schematów leczenia lub nawrotową po wcześniejszym przeszczepieniu allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych

6. Najnowsze wyniki prezentowane na ASH w 2018 roku badania RIALTO wskazują na wysoką skuteczność leku Blincyto u dzieci po wznowie ALL lub z oporną na leczenie ALL. W badaniu wykazano, że mediana czasu przeżycia całkowitego (OS) ogółem wynosi 13,0 miesięcy (95% CI: 9,3; NE). U chorych z redukcją choroby resztkowej (czyli uzyskujący odpowiedź molekularną MRD) mediana OS nie została osiągnięta w okresie obserwacji trwającym 18 miesięcy, zatem wynik ten będzie znacząco wyższy niż w populacji ogółem. Ponadto, w badaniu RIALTO 59 pacjentów (60%) uzyskało całkowitą remisję choroby a odpowiedź molekularna MRD wystąpiła u 47 chorych (80%) w czasie dwóch pierwszych cykli leczenia. U prawie połowy chorych (47%), którzy uzyskali CR, przeprowadzono przeszczepienie allo-HSCT.

7. Wyniki badania RIALTO wskazują na bardzo wysoką skuteczność blinatumomabu w indukcji remisji w tym remisji molekularnej MRD (zapewniającej głęboką odpowiedź), która pozwala na uzyskanie kontroli nad chorobą i umożliwia przeszczepienie allo-HSCT. Leczenie blinatumomabem pozwala uzyskać bardzo wysokie (istotne kliniczne) wskaźniki przeszczepialności.

8. Finansowanie ze środków publicznych produktu leczniczego Blincyto® zaspokoi występującą obecnie w tej populacji niezaspokojoną potrzebę medyczną dając chorym dzieciom możliwość całkowitego wyleczenia.

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

## 2. Uwagi do analiz wnioskodawcy<sup>6</sup>

### 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.

<sup>6</sup> 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 2017 r., poz.1844 z późn. zm.)

**b. Uwagi do analizy ekonomicznej**

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>

\* 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**

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>

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

**d. Uwagi do analizy racjonalizacyjnej**

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>

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