

**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:**

Walentyna Balwierz

Dotyczy wniosku będącego 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 .....
- Złożenie uwag w związku z upubliczonym porządkiem obrad Rady Przejrzystości w dniu .....

<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

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 zachodza** 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.)
- zachodza** 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 spożywczych 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 spożywczych 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 spożywczych 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 spożywczych 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 spożywczych 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.

*nie dotyczy*

Jestem świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DK1**

14.11.2019 

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

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

14.11.2019 ..... Wbaluier

## 1. 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.

## 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.

### 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.

<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.)

#### 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.

Nie mam uwag co do poszczególnych analiz przedstawionych w Biuletynie informacji Publicznej AOTMiT dotyczącej: „Blincyto (blinatumomabu), stosowanego w ramach programu lekowego: Leczenie blintumomabem chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (dzieci).”

Natomiast pragnę zwrócić uwagę na konieczność pilnego dostępu blinatumomabu (Blincyto) dla dzieci i młodzieży z niepowodzeniami leczenia pierwszej manifestacji ostrej białaczki limfoblastycznej (ALL). Dzieci i młodzież z ALL w przypadku pierwotnej oporności na leczenie pierwszej linii lub wznowy choroby mają bardzo złe rokowania, gdyż stosowane u nich aktualne standardowe chemioterapie drugiej linii są mało skuteczne. Celem postępowania terapeutycznego w tej szczególnej populacji chorych jest osiągnięcie nie tylko całkowitej remisji (CR) choroby, ale negatywizacji minimalnej choroby resztkowej (MRD), umożliwiającej skuteczne przeprowadzenie alloprzeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych (allo-HSCT). Obecnie jest to jedyna opcja postępowania terapeutycznego, pozwalająca na wyleczenie w przypadku wznowy ALL. Niezbędne jest zatem wprowadzenie dostępnych dla dzieci i młodzieży nowych opcji terapeutycznych, pozwalających na osiągnięcie wyższych odsetków trwałej remisji i przeżycia wolnego od choroby niż przy udziale standardowego postępowania, tak aby ostatecznie uzyskać wyleczenie. Aktualnie tę rolę może spełnić jedynie produkt leczniczy Blincyto® zawierający blinatumomab.

Lek Blincyto ma udowodnioną skuteczność i profil bezpieczeństwa w leczeniu dzieci i młodzieży od 1. roku życia z ALL z komórek prekursorowych linii B bez chromosomu *Philadelphia* i z ekspresją antygenu CD19, w przypadku pierwotnej oporności na leczenie albo wznowy choroby po wcześniejszym zastosowaniu co najmniej dwóch schematów leczenia lub wznowy po wcześniejszym przeprowadzeniu allo-HSCT.

Wyniki badania RIALTO prezentowane na kongresie ASH w 2018 roku wskazały na wysoką skuteczność leku Blincyto. W badaniu wykazano, że mediana czasu przeżycia całkowitego (OS) ogółem wynosiła 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 CR 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 allo-HSCT. Wyniki badania RIALTO wskazują na bardzo wysoką skuteczność blinatumomabu w indukcji remisji, w tym remisji molekularnej MRD, która pozwala na uzyskanie kontroli nad chorobą i umożliwia przeprowadzenie allo-HSCT.

Terapia lekiem Blincyto w leczeniu ALL jest o 1 lipca 2019 roku refundowana tylko u dorosłych, bardzo trudne jest uzasadnienie rodzicom chorych dzieci, dlaczego ich dziecko nie może dostać tej terapii. Rodzice są zmuszeni do zbierania środków finansowych na leczenie, ale choroba zbyt szybko postępuje i nie ma wystarczającego czasu na zbiórkę środków. Obecnie u chorych opornych na chemioterapię lub po nawrocie po chemioterapii nie powinno być innej opcji leczenia niż Blincyto.

Dlatego liczymy na korzystne stanowisko Rady Przejrzystości i pozytywną rekomendację Prezesa Agencji.

W trosce o losy dzieci z niepowodzeniami wstępnego leczenia

  
Prof. dr hab. med. Walentyna Balwiercz