



**PREPARAT BIAŁKOZASTĘPCZY PKU MOTION® (ŚRODEK
SPOŻYWCZY SPECJALNEGO PRZEZNACZENIA
ŻYWIENIOWEGO) STOSOWANY W RAMACH DIETY
ELIMINACYJNEJ U OSÓB POWYŻEJ 3. ROKU ŻYCIA
CHORYCH NA FENYLOKETONURIĘ**

Uzupełnienie

Kraków, grudzień 2019

W odpowiedzi na pismo numer OT.4330.18.2019.AKP.2 dotyczące niezgodności odnośnie analiz dotyczących wniosku o objęcie refundacją środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- **MEVALIA PKU Motion Red Fruits 10**, Dietetyczny produkt spożywczy do szczególnych celów medycznych (dieta zbilansowana), stosować w dietetycznym leczeniu fenyloketonurii i hiperfenyloalaninemii, płyn, 30x70 ml, kod EAN: 8008698021323,
- **MEVALIA PKU Motion Red Fruits 20**, Dietetyczny produkt spożywczy do szczególnych celów medycznych (dieta zbilansowana), stosować w dietetycznym leczeniu fenyloketonurii i hiperfenyloalaninemii, płyn, 30x140 ml, kod EAN: 8008698021309,
- **MEVALIA PKU Motion Tropical 10**, Dietetyczny produkt spożywczy do szczególnych celów medycznych (dieta zbilansowana), stosować w dietetycznym leczeniu fenyloketonurii i hiperfenyloalaninemii, płyn, 30x70 ml, kod EAN: 8008698021286,
- **MEVALIA PKU Motion Tropical 20**, Dietetyczny produkt spożywczy do szczególnych celów medycznych (dieta zbilansowana), stosować w dietetycznym leczeniu fenyloketonurii i hiperfenyloalaninemii, płyn, 30x140 ml, kod EAN: 8008698015476,
- **MEVALIA PKU Motion Yellow Fruits 20**, Dietetyczny produkt spożywczy do szczególnych celów medycznych (dieta zbilansowana), stosować w dietetycznym leczeniu fenyloketonurii i hiperfenyloalaninemii, płyn, 30x140 ml, kod EAN: 8008698024331,

we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji, tj.: do postępowania dietetycznego w fenyloketonurii (PKU) i hiperfenyloalaninemii (HPA) u dzieci w wieku 3 lat i starszych, młodzieży i dorosłych, względem wymagań określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz. U. z 2012 r. poz. 388).

Uwaga AOTMiT

I. Uwaga do całości analiz:

Według złożonego wniosku refundacyjnego treść wskazania refundacyjnego brzmi „we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji”. Załączone do wniosku „aktualne na dzień złożenia wniosku oznakowanie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego” doprecyzowuje, że produkt jest wskazany „do postępowania dietetycznego w fenyloketonurii (PKU) i hiperfenyloalaninemii (HPA) u dzieci w wieku 3 lat i starszych, młodzieży i dorosłych”. Złożone analizy obejmują tylko pierwsze z wnioskowanych wskazań, nie przedłożono natomiast analiz dla hiperfenyloalaninemii niezwiązanej z fenyloketonurią.

Pacjenci z tym wskazaniem nie zostali uwzględnieni w AKL przy ocenie skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej interwencji, ani w AE i w BIA przy szacowaniu kosztów.

W związku z powyższym analizy nie spełniają następujących wymagań:

§ 4 ust. 1 pkt 2-5 oraz § 4 ust. 2-3 Rozporządzenia,

§ 5 ust. 1-12 Rozporządzenia,

§ 6 ust. 1-6 Rozporządzenia.

Odpowiedź

Wnioskowane wskazanie refundacyjne, zgodnie z ustaleniami z Wnioskodawcą powinno obejmować tylko pierwsze z zarejestrowanych wskazań tj. postępowanie dietetyczne w fenyloketonurii (PKU), co pozostaje zgodne z przedłożonymi analizami AKL, AE oraz BIA. Wnioskodawca wystosował do Ministerstwa Zdrowia pismo korygujące treść wniosku refundacyjnego w zakresie omawianego wskazania (pismo z dnia: 16.12.2019 dotyczące sprawy: [REDAKTED] i ograniczające wnioskowane wskazanie tylko do fenyloketonurii.

Uwagi AOTMiT

II. W ramach analizy klinicznej (AKL):

2. AKL nie zawiera opisu technologii opcjonalnych, z wyszczególnieniem refundowanych technologii opcjonalnych, z określeniem sposobu i poziomu ich finansowania (**§ 4 ust. 1 pkt 2 Rozporządzenia**):

Odpowiedź

Opis technologii opcjonalnych, z wyszczególnieniem refundowanych technologii opcjonalnych, z określeniem sposobu i poziomu ich finansowania (§ 4 ust. 1 pkt 2 Rozporządzenia) znajduje się w rozdz. 3. AKL, str. 25-26. Opis ten dotyczy refundowanych technologii opcjonalnych wybranych ostatecznie jako komparatory odpowiednie do porównania z produktem PKU Motion w ramach AKL, AE i BIA. Szczegółowe zestawienie wszystkich refundowanych diet eliminacyjnych stosowanych w fenyloketonurii (zgodnie z obowiązującym wówczas Wykazem refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 listopada 2019 r.) i rozpatrywanych jako potencjalne komparatory do porównania z PKU Motion, znajduje się w dokumencie Analiza problemu decyzyjnego (APD), ale aktualnie zostało także uzupełnione w Analizie klinicznej.

a) Brak wystarczającego uzasadnienia, dlaczego przyjęto, iż „technologie podobne, takie jak PKU Express 10, PKU Express 20 oraz PKU Gel 10 i PKU Gel 20 (...) prawdopodobnie nie będą zastępowane przez wnioskowaną technologię w przypadku jej refundacji ze względu na odmienną postać (proszki porcjowane)” (APD s. 56). Z tego względu nie zostały one uwzględnione wśród głównych komparatorów, a jedynie potraktowane jako dodatkowe „komparatory hipotetyczne”. Biorąc pod uwagę, że w jedynym badaniu dotyczącym ocenianej interwencji – nieopublikowanym badaniu MacDonald 2018, spośród 12 pacjentów włączonych do badania 8 pacjentów przyjmowało wcześniej preparaty białkozastępcze w formie proszku, a następnie w ramach badania stosowało PKU Motion (płyn), powyższe uzasadnienie należy uznać za niewystarczające.

Odpowiedź

Przy wyborze komparatorów brano pod uwagę kwestie związane z wygodą i łatwością przygotowania posiłku opartego na białkozastępczym preparacie nisko- lub bezfenyloalaninowym, stąd też uznano, że produkty dostępne w takiej samej postaci jak interwencja wnioskowana (w płynie, porcjowane, gotowe do spożycia) będą stanowiły podstawowe komparatory. Jednocześnie, uwzględniając pozostałe właściwości rozpatrywanych diet eliminacyjnych (porcjowane, zawierające taką samą ilość równoważnika białka) stwierdzono że produkty takie jak: PKU Gel (10 g) i PKU Express (15 g lub 20 g) mogą stanowić dodatkowe interwencje alternatywne (dodatkowe komparatory). W AKL uzupełniono informacje dotyczące ww. dodatkowych komparatorów, głównie w rozdz. 5.4., w którym podkreślono także ocenę efektów stosowania PKU Express oraz PKU Gel w badaniach, w których stanowiły one interwencje alternatywne dla analizowanego preparatu PKU Cooler. Mimo wyodrębnienia podstawowych i dodatkowych komparatorów – wszystkie ww. komparatory potraktowano tak samo w ramach oceny klinicznej i ekonomicznej.

W drugiej stronie, raportowane wyniki nieopublikowanego, jednoramiennego badania o niskiej wiarygodności dotyczącego interwencji wnioskowanej (MacDonald 2018) uniemożliwiają przeprowadzenie analizy porównawczej w ramach AKL z jakimkolwiek komparatorem, niezależnie czy jest to komparator podstawowy czy dodatkowy.

b) Brak wystarczającego uzasadnienia, dlaczego produkty zawierające ekwiwalent białka 15 g nie były rozpatrywane jako odpowiedni komparator dla PKU Motion 10 oraz PKU Motion 20 „ze względu na inną zawartość białka w porcji diety” (APD s. 53). Biorąc pod uwagę, że zgodnie z oznakowaniem środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Motion „zalecane spożycie musi być określone wyłącznie przez lekarza lub dietetyka, w zależności od wieku, masy ciała i indywidualnego stanu zdrowia”, uzasadnienie zawarte w analizie wnioskodawcy jest niewystarczające.

Odpowiedź

Założono, że w określonym momencie życia chory będzie potrzebował podaży określonej ilości równoważnika białka z suplementacji, stąd też produkty zawierające mniej lub więcej gramów równoważnika białka (15 g) nie będą odpowiednie dla chorych, których dieta wymagała będzie określonej ilości równoważnika białka pochodzącego z suplementacji, określonej przez lekarza (10 g lub 20 g). Stąd też w trakcie suplementacji ekwiwalentów białka, których wartość jest ściśle ustalona przez lekarza specjalistę, zamiana preparatu o określonej zawartości białka na preparat o innej zawartości równoważnika białka jest nieuprawniona, chyba że chory dysponuje różnymi substytutami białkowymi o różnej zawartości ekwiwalentu białka i może je stosować zamiennie w ciągu dnia pamiętając o utrzymaniu/ nieprzekroczeniu dobowej dawki zalecanej.

Zgodnie z zaleceniami analityków AOTMiT preparat PKU Cooler 15, obok PKU Cooler 10 i PKU Cooler 20, został uwzględniony jako komparator do porównania z interwencją wnioskowaną. Jednocześnie nie

wpływa to na zmianę wnioskowania z AKL ze względu na wspomniany wyżej brak możliwości porównania/ zestawienia efektów stosowania PKU Motion względem jakiegokolwiek komparatora.

3. Przegląd systematyczny badań pierwotnych nie zawiera porównania z co najmniej jedną refundowaną technologią opcjonalną, a w przypadku braku refundowanej technologii opcjonalnej – z inną technologią opcjonalną (**§ 4 ust. 3 pkt 1 Rozporządzenia**). W przeglądzie wnioskodawcy wyniki dla ocenianej interwencji i wyniki dla komparatorów przedstawiono oddzielnie. Brakuje analizy jakościowej w postaci zestawienia w jednej wspólnej tabeli wyników z badania dotyczącego ocenianej interwencji i wyników z badań dotyczących komparatorów oraz ich krytycznej oceny w kontekście skuteczności i bezpieczeństwa. Ponadto, mimo iż wskazano, że preparaty białkozastępcze, do których należy oceniana interwencja i komparatory, „różnią się od siebie nie tylko składem, ale także postacią oraz właściwościami organoleptycznymi” (APD s. 29, AKL s. 56), nie przeanalizowano tych różnic. Ograniczono się do przedstawienia w osobnych rozdziałach składu ocenianej interwencji i składu komparatorów.

Odpowiedź

Brak porównania/ zestawienia wyników pochodzących z badania dotyczącego wnioskowanej interwencji oraz wyników badań oceniających interwencje alternatywne wynika z charakteru nieopublikowanego badania MacDonald 2018 (jedynego badania dotyczącego produktu PKU Motion) i sposobu przedstawienia jego wyników (było to badanie jednoramienne) co uniemożliwiało przeprowadzenie jakiegokolwiek analizy jakościowej i ilościowej; wyników badania MacDonald 2018 nie można było odnieść do usystematyzowanych wyników badań dotyczących interwencji alternatywnych.

Wychodząc naprzeciwko zaleceniom analityków AOTMiT w rozdziale 5.4. przedstawiono tabelę z charakterystyką badania dotyczącego interwencji wnioskowanej oraz badań dotyczących komparatorów wraz z opisem ocenianych punktów końcowych, co ma na celu zobrazowanie ograniczonej możliwości zestawienia wyników ww. badań. Dodatkowo, w rozdz. 6.1. przedstawiono zbiorczą tabelę zawierającą wszystkie dostępne wyniki raportowane w zidentyfikowanych/ otrzymanych od Zamawiającego badaniach. Ponadto, w rozdz. 5.4. zestawiono i przeanalizowano właściwości, skład jakościowy i ilościowy analizowanych substytutów białkowych na podstawie danych z dostępnych Kart charakterystyki produktu.

IV. W ramach analizy ekonomicznej (AE) i analizy wpływu na budżet (BIA):

4. Komentarz AOTMiT: „AE nie zawiera analizy podstawowej (§ 5 ust. 1 pkt 1 Rozporządzenia). W związku z brakiem dowodów naukowych potwierdzających, że wyniki zdrowotne (efektywność porównywanych technologii medycznych) są terapeutycznie równorzędne, przedstawiona analiza minimalizacji kosztów obarczona jest dużymi ograniczeniami. Dodatkowo należy przedstawić analizę konsekwencji kosztów, w tym przeprowadzić przegląd systematyczny odnośnie do użyteczności stanów zdrowia.”

Odpowiedź

Mając na uwadze wykazany w ramach Analizy klinicznej brak dostępnych dowodów naukowych potwierdzających przewagę wnioskowanej technologii nad opcjonalnymi technologiami refundowanymi analizę ekonomiczną przeprowadzono z wykorzystaniem metod analizy minimalizacji kosztów. Alternatywną dla takiego podejścia jest przeprowadzenie analizy kosztów-efektywności uwzględniającej założenia dotyczące przewagi klinicznej wnioskowanej technologii.

Przeprowadzenie analizy minimalizacji kosztów w takiej sytuacji zgodne jest z opinią AOTMiT dotyczącą środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śspż) ocenianych uprzednio (PKU Gel – ocena we wrześniu 2016 roku i PKU Sphere - ocena w grudniu 2018 roku). Analizy ekonomiczne dla uprzednio ocenianych śspż opierały się na założeniach dotyczących przewagi niektórych preparatów i uwzględniały modelowanie dodatkowego efektu klinicznego na podstawie przyjętych założeń. W Analizie weryfikacyjnej dla PKU Gel (AWA nr OT.4350.14.2016; www.aotmit.gov.pl) Agencja wyraźnie wskazuje, że przy dostępie takich danych „w opinii analityków Agencji właściwszą techniką analityczną jest analiza minimalizacji kosztów” (str. 37).

Wagi użyteczności nie mają żadnego wpływu na wyniki i wnioski z analizy minimalizacji kosztów. Tym samym nie przeprowadzono przeglądu systematycznego w pierwotnych wersjach analizy ekonomicznej. Jednak z uwagi na sugerowaną przez AOTMiT konieczność, przegląd systematyczny źródeł na temat wag użyteczności stanów zdrowia został dodany do aktualnej wersji raportu z analizy ekonomicznej.

Wyniki tego przeglądu wskazują, że wpływ na wagi użyteczności pacjentów z fenylketonurią ma wyłącznie: kontrola przebiegu choroby oparta przede wszystkim na poziomie feniloalaniny i osiągnięta m.in. przez wysoki compliance do diety i/lub długoterminowe konsekwencje zdrowotne braku kontroli choroby (np. upośledzenie umysłowe).

Żaden śspż stosowany w diecie eliminacyjnej wśród chorych na fenylketonurię nie posiada dowodów naukowych potwierdzających jego przewagę nad innymi śspż w obrębie:

- w/w aspektów wpływających na wagi użyteczności (kontrola poziomu feniloalaniny we krwi, zapobieganie wystąpieniu upośledzenia umysłowego);
- ryzyka zgonu chorych.

Przy braku dowodów na wpływ porównywanych śspż na długość i jakość życia chorego, nie ma możliwości przeprowadzenia porównawczej analizy kosztów-efektywności (efekty takie same po zastosowaniu wszystkich śspż). Tym samym w przypadku porównania śspż stosowanych w diecie eliminacyjnej wśród chorych na fenylketonurię możliwe jest przeprowadzenie wyłącznie analizy minimalizacji kosztów.

5. Komentarz AOTMiT: „AE nie zawiera przeglądu systematycznego opublikowanych analiz ekonomicznych (§ 5 ust. 1 pkt 3 Rozporządzenia). Opis przeprowadzenia przeglądu zawiera lukę niepozwalającą odtworzyć wszystkich kroków w jego sporządzeniu – nie wyszczególniono wykluczonych badań przez co nie jest możliwe ich zweryfikowanie (nie podano danych bibliograficznych).”

Odpowiedź

Do aktualnej wersji raportu z AE dodano dane bibliograficzne wykluczonych rekordów.

6. Komentarz AOTMiT: „Horyzont czasowy AE nie przekracza 1 roku, dlatego przeprowadzone w analizie dyskontowanie kosztów technologii wnioskowanej i komparatorów na poziomie 5% rocznie należy uznać za nieuzasadnione. W związku z czym niespełniony jest § 5 ust. 7 Rozporządzenia.”

Odpowiedź

Jak zaznaczono w rozdziale 3.7. raportu z AE „uwzględniono dyskontowanie kosztów przy rocznej stopie dyskontowej równej 5,0% [1], [3] w przypadku horyzontu czasowego przekraczającego 1 rok (nie dotyczy analizy podstawowej)”.

Również w aktualnej wersji AE nie stosowano dyskontowania dla horyzontu czasowego krótszego od roku.

7. Komentarz AOTMiT: „W BIA oszacowania, o których mowa w § 6 ust. 1 pkt 1–3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w § 6 ust. 1 pkt 4 i 5 Rozporządzenia, zostały przeprowadzone w 2-letnim horyzoncie czasowym, co biorąc pod uwagę wskazany we wniosku refundacyjnym 3-letni czas obowiązywania decyzji refundacyjnej, może być niewystarczającym okresem czasu do ustalenia równowagi na rynku. W związku z tym niespełniony jest § 6 ust. 2 Rozporządzenia.”

Odpowiedź

Wnioskodawca zaktualizował informacje zawarte we wniosku – uwzględniono 2-letni okres obowiązywania decyzji i odpłatność ryczałtową świadczeniobiorcy. Wnioskodawca wystosował do Ministerstwa Zdrowia pismo korygujące treść wniosku refundacyjnego w zakresie okresu refundacji (pismo z dnia: 16.12.2019 dotyczące sprawy: [REDAKTED] i zakładające dwuletni okres refundacji (zgodnie z Ustawą o refundacji).

8a. Komentarz AOTMiT: „BIA nie zawiera wyszczególnienia założeń, na podstawie których dokonano oszacowań (§ 6 ust. 1 pkt 9 Rozporządzenia):

Niewystarczająco uzasadniono przyjęcie w analizie podstawowej stopnia wykorzystania wnioskowanej technologii w przypadku jej refundacji w oparciu o „prognozy Wnioskodawcy w zakresie docelowej liczby sprzedanych opakowań wnioskowanej technologii w przypadku jej refundacji” (BIA s. 28).”

Odpowiedź

W BIA testowano 3 warianty oceny sprzedaży wnioskowanej technologii po objęciu refundacją. Uwzględniono:

- założenia dotyczące innego śpż ocenianego przez AOTMiT (PKU Sphere) i stosowanego w analizowanym wskazaniu;

- docelowe wykorzystanie PKU Gel wśród wszystkich analizowanych skondensowanych preparatów porcjowanych (w tym wariantcie uwzględniono faktyczny udział nowego śspż po uzyskaniu refundacji);
- prognozy Wnioskodawcy w zakresie docelowej liczby sprzedanych opakowań wnioskowanej technologii w przypadku jej refundacji.

Nie są dostępne precyzyjne informacje na temat prognozy przeprowadzonej przez Wnioskodawcę. Opierała się ona na porównaniu rynku sprzedaży skondensowanych preparatów porcjowanych w płynie w Polsce i innych krajach europejskich. Mając na uwadze, iż wyłącznie informacje dotyczące wykorzystania PKU Gel wśród wszystkich analizowanych skondensowanych preparatów porcjowanych są w pełni weryfikowalne i dotyczące faktycznego udziału nowego śspż po uzyskaniu refundacji, w ramach aktualizacji BIA ten wariant analizy został uwzględniony jako podstawowy. Pozostałe warianty testowano w analizie wrażliwości.

8b. i 8c. Komentarze AOTMiT: „Niewystarczająco uzasadniono przyjęcie założenia, że „wnioskowana technologia zastąpi opcjonalne technologie refundowane zawierające taką samą ilość ekwiwalentu białka (np. porcje 10 g zastąpią tylko porcje 10 g)” (BIA s. 18).”

„Niewystarczająco uzasadniono wzięcie pod uwagę przy szacowaniu populacji tylko danych sprzedażowych dotyczących komparatorów z opakowaniami zawierającymi ekwiwalent białka 10 g i 20 g, przy pominięciu danych dla opakowań 15 g.”

Odpowiedź

W analizach przyjęto, że zmiana statusu refundacyjnego wnioskowanej technologii spowoduje wzrost jej wykorzystania kosztem tych refundowanych śspż, które mają podobną postać, tj. preparatów dostępnych pod postacią gotowych porcji zawierających 10 lub 20 g ekwiwalenty białka w płynie.

Chorzy na fenylketonurię podlegają ścisłej diecie i dokładnie kontrolują ilość spożywanego białka lub jego ekwiwalentu. Wnioskowana technologia i komparatory to gotowe, porcjowane śspż w płynie. Stosowane będą prawdopodobnie jako dodatek do innych śspż stosowanych regularnie (np. tylko podczas podróży, na wycieczce, poza domem). Oznacza to, że u większości pacjentów preparaty te spożywane będą jednorazowo lub co jakiś czas. W takiej grupie pacjentów wielkość porcji będzie miała znaczenie i tylko wśród niektórych z nich stosowanie porcji 10 g i/lub 20 g będzie zamienne z porcją 15 g (np. dla pacjenta spożywającego jednorazowo 2 porcje 15 g możliwe jest zastosowanie 1 porcji 10 g i 1 porcji 20 g). Tym samym przyjęcie założenia o przejęciu rynku sprzedaży porcji 15 g wiąże się z wysoką niepewnością. Mając dodatkowo na uwadze niski udział sprzedaży porcji 15 g w chwili obecnej (od 3,9% do 6,7% w latach 2015 – 2018) ten segment sprzedaży został wykluczony z BIA.

Biorąc pod uwagę wątpliwości i zalecenia analityków AOTMiT w trakcie aktualizacji BIA dodano porcje 15 g do rynku sprzedaży potencjalnie przejmowanego przez wnioskowaną technologię. Dane te uwzględniono również przy szacowaniu liczebności populacji docelowej dla wnioskowanej technologii.

8d. Komentarz AOTMiT: „Niewystarczająco uzasadniono kwalifikację wnioskowanej interwencji do nowej grupy limitowej, biorąc pod uwagę, iż w AKL wnioskodawcy nie wykazano, że zawartość składników odżywczych w istotny sposób wpływa na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny.”

Odpowiedź

Kwalifikację do nowej grupy limitowej uzasadniono na podstawie analizy wskazań objętych refundacją dla preparatów z poszczególnych grup, zakresem wskazań do stosowania wnioskowanej technologii, postacią farmaceutyczną i charakterem wnioskowanej technologii (płyn porcjowany, skondensowany). W przypadku preparatów dietetycznych wspólna grupa limitowa nie znajduje zastosowania, gdyż może ograniczyć dostęp niektórym pacjentom do tych preparatów. Wśród pacjentów z analizowanej populacji wybór preparatu dietetycznego często podlega subiektywnym kryteriom jak odpowiedni smak czy konsystencja. W przypadku wspólnej grupy limitowej istnieje zagrożenie, że część pacjentów z uwagi na wyższy koszt preparatu bardziej dla nich odpowiedniego odstępowałaby od zaleceń dietetycznych, co mogłoby mieć negatywne skutki zdrowotne.

Potwierdzeniem powyższego są m.in. wyniki badania dla wnioskowanej technologii – w grupie pacjentów włączonych do tego badania zidentyfikowano chorego, któremu preparat wnioskowanej technologii nie odpowiadał.

Dodatkowy komentarz AOTMiT: „Proszę również o aktualizację analiz względem nowego Obwieszczenia MZ, obowiązującego w momencie składania uzupełnień (w tym uwzględnienie wszystkich refundowanych komparatorów).”

Odpowiedź

Analizy zostały zaktualizowane – uwzględniono aktualne Obwieszczenie MZ obowiązujące od 1 listopada 2019 roku oraz nowe dane dotyczące przeżycia osób z populacji ogólnej Polski (tablice trwania życia za 2018 rok).

V. Wskazanie źródeł danych:

9. Przedłożone analizy nie zawierają danych bibliograficznych wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji (**§ 8 pkt 1 Rozporządzenia**). W danych bibliograficznych jedynego odnalezionego badania dotyczącego ocenianej interwencji – nieopublikowanego badania MacDonald (pozycja 1 w bibliografii AKL) nie podano roku powstania badania.

Odpowiedź

Na podstawie danych uzyskanych od Wnioskodawcy dysponującego manuskryptem nieopublikowanego badania MacDonald, uzupełniono w AKL datę powstania/ przeprowadzenia ww. badania (jest to rok 2018).