

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4330.20.2020
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro we wskazaniu: fenyloketonuria u pacjentów powyżej 12. roku życia

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 albo pocztową na adres siedziby Agencji.

Dopuszczalne jest również przesłanie na adres poczty elektronicznej: sekretariat@aotm.gov.pl uwag (pkt. 2) wraz z wypełnioną Deklaracją Konflikту Interesów (pkt. 1) podpisaną za pomocą kwalifikowanego podpisu elektronicznego albo podpisu zaufanego.

Uwagi można zgłaszać w terminie 7 dni od dnia opublikowania analiz w Biuletynie Informacji Publicznej (BIP). Uwagi dostarczone do siedziby AOTMiT bądź przesłane na adres poczty elektronicznej: sekretariat@aotm.gov.pl po upływie tego terminu nie będą rozpatrywane.

W związku z obowiązującym stanem epidemii wprowadzonym rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 20 marca 2020 r. w sprawie ogłoszenia na obszarze Rzeczypospolitej Polskiej stanu epidemii (Dz. U. z 2020 r., poz. 491 z późn. zm.), w przypadku zamiaru przesłania uwag wraz z Deklaracją Konflikту Interesów przesyłką kurierską albo pocztową na adres siedziby Agencji, zwracamy się z uprzejmą prośbą o dodatkowe przekazanie skanu (lub zdjęcia) podpisanego dokumentu za pośrednictwem ePUAP lub poczty elektronicznej: sekretariat@aotm.gov.pl.

UWAGA! Zgłoszone uwagi i deklaracja konflikту 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:

MICHAŁ JACHIMOWICZ, MAHTA Sp. z o.o.

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

PKU GMPPro

Czego dotyczy DKI⁴:

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

-dotyczącego:

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 2020 r., poz. 357 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. z 2020 r., poz. 1398)

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. z 2020 r., poz. 1398)

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

- Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej

PKU GMPro

- ~~Złożenie uwag w związku z upublicznonym 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 pożyciu⁵:

X nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. z 2020 r., poz. 1398),

zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. z 2020 r., poz. 1398), 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.

Pracuję w firmie MAHTA przygotowującej raporty oceny technologii medycznych. Brałem udział w pracach nad przygotowaniem raportu oceny technologii alternatywnej, PKU Sphere, która już była oceniana przez AOTMiT wcześniej.

⁵ niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

11.02.2021 Michał Jachimowicz

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

11.02.2021 Michał Jachimowicz

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>Do analizy klinicznej oceniającej produkt GMPPro włączono 17 badań dla różnych preparatów opartych na GMP, jednakże żadne z tych badań nie oceniało konkretnie produktu GMPPro. Za to aż cztery z włączonych badań oceniały konkretnie produkt PKU Sphere:</p> <ul style="list-style-type: none">• Daly 2020: badanie nierandomizowane z grupą kontrolną, vs L-AA, okres obserwacji 6 m-cy;• Daly 2019a: badanie nierandomizowane z grupą kontrolną, vs L-AA, okres obserwacji 36 m-cy;• Daly 2019b: badanie randomizowane, cross-over, vs L-AA, okres obserwacji 6 tyg.;• Daly 2017: badanie nierandomizowane z grupą kontrolną, vs L-AA, okres obserwacji 26 tyg.; <p>Pozostałe badania oceniały inne produkty bazujące na GMP, takie jak: Lacprodan, Glytactin Bettermilk, GMP Camino Pro Restore, Bio Pure, PhenylAde GMP Drink Mix lub inne produkty, dla których nie podano w badaniach nazwy ani producenta.</p> <p><u>Jak zauważono w Analizie Weryfikacyjnej AOTMiT, wnioskowanie na podstawie badań dla produktów o zupełnie innym składzie jest nieuzasadnione i niewłaściwe.</u> Jak sami autorzy analiz podali, jedynie w przypadku produktu PhenylAde GMP Drink Mix można stwierdzić jakiegokolwiek podobieństwo składu z GMPPro. W przypadku innych produktów, w tym PKU Sphere, składy różnią się bardzo istotnie, co może przekładać się na właściwości smakowe, zachowanie reżymu terapeutycznego – dietetycznego, tolerancję produktu i inne aspekty. Istotne jest, że to właśnie te punkty końcowe są kluczowe dla wykazania przewagi produktów opartych o GMP.</p> <p>Należy podkreślić, że raport dla PKU Sphere był sporządzany i oceniany przez AOTMiT w 2018 r. Dostępne wtedy było jedno badanie (Daly 2017) potwierdzające skuteczność tego produktu i jego bezpieczeństwo. Dodatkowo, do analiz włączono wówczas także badania Ney 2016 oraz Pinto 2017, które oceniały produkt Glytactin. Porównano bowiem wówczas składy PKU Sphere i Glytactin koncentrując się na przeliczeniu zawartości białka na zalecane dzienne spożycie białka i wykazano duży stopień podobieństwa ocenianych produktów. Niemniej, podstawą wnioskowania było badanie dla PKU Sphere (Daly 2017). Od tamtego czasu opublikowane jednak zostały 3 kolejne badania oceniające PKU Sphere: Daly 2019a, Daly 2019 b oraz Daly 2020. Zatem <u>produkt PKU Sphere jest obecnie najlepiej przebadanym środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego opartym na GMP.</u> Jeśli więc rozważane jest obecnie w Polsce udostępnienie pacjentom produktu z tej kategorii, objęcie refundacją produktu PKU Sphere jest jedynym dostępnym rozwiązaniem. <u>Dla produktów GMPPro, nie jest dostępny żaden dowód naukowy potwierdzający jego skuteczność i bezpieczeństwo.</u></p> <p>Na marginesie należy zauważyć, iż wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego PKU GMPPro został złożony na podstawie art. 24 ust 1 pkt 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Zgodnie zatem z art. 25 pkt 14 elementem tego wniosku powinna stać się analiza kliniczna sporządzona na podstawie przeglądu systematycznego w porównaniu z innymi możliwymi do zastosowania w danym stanie klinicznym procedurami medycznymi we wnioskowanym wskazaniu.</p> <p>W świetle braku jakiegokolwiek wyników badań klinicznych ze środkiem GMPPro, które mogłyby zostać zamieszczone w takiej analizie, braku odpowiednika, na którego wyniki badań klinicznych mógłby powoływać się wnioskodawca w tym postępowaniu, wydaje się,</p>

	<p>że przedłożony wniosek o objęcie refundacją środka PKU GMPro nie spełnia wymagań w zakresie danych merytorycznych określonych przepisami ustawy o refundacji.</p> <p>Przedmiotem oceny AOTMiT pozostają przecież wyniki przeprowadzonych badań klinicznych, natomiast w stanie faktycznym, gdy wnioskodawca nie przedstawił żadnych wyników badań potwierdzających skuteczność/efektywność stosowania tego środka spożywczego, istnieje niemożliwość oceny tego środka przez AOTMiT pod względem klinicznym.</p> <p>Dodatkowo warto pamiętać, że w niektórych krajach Unii Europejskiej produkt PKU GMPro nie uzyskał nawet pozwolenia na wejście na rynek (np. Francja), w dużej mierze dlatego, że nie zawiera w swym składzie pełnego zestawu składników wymaganych klinicznie przy stosowaniu diety w PKU. O ile produkt PKU Sphere posiada wszystkie wymagane składniki, o tyle PKU GMPro nie – musi być dodatkowo suplementowany. Dlatego też porównanie tego produktu z innymi, pełnowartościowymi, jeśli już zostało dokonane, to powinno uwzględniać tę cechę PKU GMPro – mianowicie konieczność dodawania innych, bezwzględnie wymaganych składników diety, co przekładać się powinno po pierwsze na konstrukcję porównań w samym raporcie, a po wtóre – na strukturę kosztów towarzyszących jednej i drugiej terapii (koszty dodatkowej suplementacji nie zostały uwzględnione w ocenie PKU GMPro).</p>
--	---

* 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.

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.)

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.

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.