

**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.4231.17.2021
<b>Tytuł:</b>	Symkevi (iwakaftor+tezakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)”

*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 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:** Dorota Sands.....

Dotyczy wniosku będącego przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Symkevi (iwakaftor+tezakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)” u pacjentów chorych w wieku co najmniej 6 lat, którzy są homozygotyczni pod względem mutacji F508del lub którzy są heterozygotyczni pod względem mutacji F508del i mają jedną z następujących mutacji genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G i 3849+10kbC→T.).

<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 2017r., poz. 1844 z późn. zm.)

<sup>2</sup> 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.)

<sup>3</sup> 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.)

Czego dotyczy DK1<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 upublicznionym 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 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 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.

.....

.....

.....

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

<sup>4</sup> zaznaczyć tylko 1 pole

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

Data składania i podpis osoby składającej DKI

3.06.2021 .....  .....

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

.....

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>
rozd. 3.3, s. 21, tab. 10	<p><i>Liczebność i charakterystyka populacji wnioskowanej na podstawie danych NFZ.</i></p> <p>Podstawowym źródłem danych dotyczących pacjentów z mukowiscydozą jest Europejski Rejestr Mukowiscydozy. Większość polskich ośrodków prowadzących leczenie pacjentów raportuje zarówno ich liczbę, jak i typ posiadanych mutacji. Restrykcyjne wymagania jakie należy spełnić, aby móc wziąć udział w Rejestrze gwarantują, że znajdują się w nim wyłącznie dane pacjentów, których rozpoznanie i rodzaj mutacji zostały potwierdzone odpowiednimi badaniami. Nie ma też możliwości dublowania danych pacjentów, co niestety często występuje w danych sprawozdawanych przez NFZ. Na podstawie Rejestru można oszacować liczbą chorych na mukowiscydozę w Polsce na mniej niż 2000 osób.</p> <p>Na problem wielokrotnego wprowadzania danych tych samych pacjentów wskazał audyt ośrodków leczenia mukowiscydozy przeprowadzony w Polsce w 2015 roku. Wynika to z faktu, iż chorzy bez dostępu do nowoczesnych terapii przyczynowych szukają pomocy w różnych ośrodkach, zatem równocześnie mogą znajdować się pod opieką kilku z nich.</p>
rozd. 4.1.4, s. 43	<p><i>Uwaga Agencji dotycząca różnic w dostępie do terapii standardowej w Polsce w porównaniu do krajów, z których pochodzili uczestnicy badań klinicznych oraz oceny skuteczności terapii przyczynowej.</i></p> <p>Centrum Leczenia Mukowiscydozy w Dziekanowie Leśnym jest wiodącym ośrodkiem leczenia pacjentów z mukowiscydozą w Polsce, które spełnia standardy międzynarodowe. Zostało to wielokrotnie potwierdzone przeprowadzanymi okresowo audytami międzynarodowymi, na podstawie których Centrum uzyskało akredytację do uczestnictwa w najbardziej prestiżowych badaniach klinicznych na świecie. Tym samym standard leczenia objawowego dostępnego w Polsce w terapii mukowiscydozy został uznany za wystarczający i nieodlegający od standardów innych ośrodków, w których prowadzone są badania kliniczne.</p> <p>Wśród badań prowadzonych w Centrum były również badania dotyczące skuteczności oraz bezpieczeństwa leczenia przyczynowego w mukowiscydozie modulatorami genu CFTR. Polscy pacjenci uczestniczyli zarówno w badaniach dotyczących terapii skojarzonej Kaftrio+Kalydeco, jak i Symkevi+Kalydeco.</p> <p>Wyniki uzyskiwane przez polskich pacjentów poddanych terapii modulatorami CFTR były brane pod uwagę w analizach statystycznych we wszystkich prowadzonych badaniach międzynarodowych, co świadczy o ich wysokiej jakości. U polskiej grupy pacjentów leczonych Kaftrio+Kalydeco obserwowano poprawę wydolności oddechowej na co najmniej identycznym poziomie, jak dla pacjentów z innych ośrodków. Co więcej, na podstawie wyników skuteczności leczenia obserwowanych w badaniach klinicznych oraz</p>

	<p>w rzeczywistej praktyce klinicznej, terapia Kaftrio+Kalydeco jest uznawana za terapię o wysokiej efektywności klinicznej.</p> <p>W stosunku do terapii skojarzonej Symkevi+Kalydeco u wszystkich polskich pacjentów zaobserwowano stabilizację postępu choroby, co jest również bardzo korzystnym wynikiem w procesie terapeutycznym mukowiscydozy. W porównaniu do wysoce efektywnego modulatora jakim jest Kaftrio, Symkevi należy uznać za lek umiarkowanie efektywny, jednak równie ważny w procesie zahamowania postępu mukowiscydozy. Obydwa leki przyczyniają się do zmiany choroby śmiertelnej, jaką jest mukowiscydoza, w chorobę przewlekłą, z którą pacjenci mogą prowadzić w miarę normalny tryb życia.</p> <p>Na podstawie własnej, wieloletniej praktyki w prowadzeniu pacjentów z mukowiscydozą oraz ostatnich doświadczeń, zarówno z wysoce efektywną terapią Kaftrio+Kalydeco, jak i umiarkowanie efektywną terapią Symkevi+Kalydeco mogę stwierdzić, że obserwowana skuteczność leczenia jest nie tylko porównywalna z wykazywaną w badaniach klinicznych, ale często ją nawet przewyższa. Wyjściowy poziom standardowej opieki nad pacjentami nie odgrywa tu znaczącej roli, a wręcz zauważalnym jest, iż pacjenci w gorszym stanie wyjściowym odnoszą większe korzyści z leczenia modulatorami CFTR.</p>
--	---

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

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

#### a. Uwagi do analizy klinicznej

<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.

#### 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.

<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 2016r., poz. 1536 z późn. zm.)

**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.

