

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4231.16.2021
Tytuł:	Kaftrio (iwakaftor+tezakaftor+eleksakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru w skojarzeniu z tezakaftorem i eleksakaftorem”

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 przestać 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: Ks.prot.mgr Andrzej Opolski

Dotyczy wniosku będącego przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Kaftrio (iwakaftor+tezakaftor+eleksakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru w skojarzeniu z tezakaftorem i eleksakaftorem” u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR z minimalną wartością funkcji (MF).

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 2017r., poz. 1844 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. U. z 2017, poz. 1938 z późn. zm.)

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. U. z 2017, poz. 1938 z późn. zm.)

Czego dotyczy DKI⁴:

- Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości dotyczącego:
- Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej
- ~~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:

- 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.

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

⁵ niepotrzebne skreślić

Data składania i podpis osoby składającej DKI

.....04 czerwiec 2021

Ks. prot. mgr Andrzej Opolski

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

.....04 czerwiec 2021

Ks. prot. mgr Andrzej Opolski

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>Moja 14 letnia córka Zuzanna Opolska (ur.04.06.2007) od urodzenia choruje na mukowiscydozę o mutacji delF508/delF508 – homozygota. Podczas całej historii choroby przeszła 5 operacji, między innymi 2 operację niedrożności jelit, która to niedrożność została spowodowana zalegającym śluzem, który jest efektem mukowiscydozy. Córka ma usuniętą część jelit.</p> <p>Również 2 operacje usunięcia polipów zatok. Córce groziła deformacja twarzo-czaszki. Należało poprzez prowadzić 2 poważne operacje w przeciągu 3 miesięcy, by córki twarz nie uległa deformacji. Powodem tego jest również mukowiscydoza. Córka z powodu choroby ma również inwazyjną aspergilozę, niewydolną trzustkę. Od 3 roku życia walczyliśmy z patogennym i opurtonistycznym i mocno skolonizowanym <i>Pseudomonas aeruginosa</i> i <i>staphylococcus aureus</i>. W drogach oddechowych jest również skolonizowany <i>achromobacter xylosoxidans</i>, <i>stenotrophomonas maltophilia</i> oraz <i>candida albicans</i>. Córka ma również podwyższone cukry. Kifozę klatki piersiowej.</p> <p>Najgorsze jest jednak to, że mukowiscydoza wyniszczyła jej płuca, a górny płąt płuca lewego jest martwy. Zespół lekarzy Centrum Leczenia Mukowiscydozy w Dziekanowie Leśnym po konsultacji z zespołem transplantologicznym Oddziały Transplantacji Płuc z Pododdziałem Muskowiscydozy Śląskiego Centrum Chorób Serca w Zabrzu- podjęli decyzje o operacji usunięcia martwej części płuca – lobektomii.</p> <p>W tak krótkim czasie mukowiscydoza nie leczona na światowym poziomie, doprowadziła do tak trwałych i nieodwracalnych zmian u mojej córki.</p> <p>W związku z tym, iż polska opieka zdrowotnie nie jest w stanie zabezpieczyć odpowiedniego leczenia mukowiscydozy na światowym poziomie (a przynajmniej na europejskim), po konsultacji z CLM w Dziekanowie Leśnym podjęliśmy decyzję o zakupie leków przyczynowych z własnych środków.</p> <p>Od 25 listopada do 12 grudnia 2020 r.(18 dni) podawaliśmy Symkevi (tezakaftor+ iwakaftor) oraz Kalydeco (ivacaftor). Zuzia od razu zaczęła czuć się lepiej , a pierwszym widocznym efektem był prawidłowy oddech. Córka mówiła, że już się nie poddusza.</p> <p>Od 13 grudnia do dziś, Zuzia przyjmuje Kaftrio (iwakaftor+tezakaftor+eleksakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) – zakupione z własnych środków.</p> <p>W przeciągu kilku godzin po podaniu zaobserwowaliśmy natychmiastowy wyrzut wydzieliny płucnej. Córka w przeciągu tygodnia w naszej ocenie wydzieliła w zasadzie całą wydzielinę jaka jej zalegała w płucach.</p> <p>Przez 3 dni jedynie nieznacznie bolała ją głowa i to tyle jeżeli chodzi o tzw ewentualne skutki uboczne. Do dziś nie zaobserwowaliśmy innych problemów w związku z podażą leków.</p> <p>Od momentu włączenia leków, Zuzia nie miała żadnej infekcji</p>

	<p>dróg oddechowych. Nie było potrzeby stosowania leków przeciwgrzybiczych. <u>Od momentu włączenia Kaftrio (iwakaftor+tezakaftor+eleksakaftor) i Kalydeco (iwakaftor), Zuzia przytyła 11 kg i urosła 4 cm.</u></p> <p><u>Po 1 miesiącu przyjmowania leków chlorki w pocie spadły z poziomu 72 mmol/l do 19 mmol/l .</u></p> <p>Zuzia zaczęła uprawiać sport. Dziś jest w stanie przejść dziennie 15 km i przejechać rowerem 10-15 w ciągu 1 dnia. Jej rówieśnicy mogą w końcu przychodzić do Zuzi, a ona w koncu nie jest wyobcowana.</p> <p>Podczas znajomi i bliscy chorowali na COVID, Zuzia nie chorowała. Myślimy, że Kaftrio+Kalydeco musi mieć na to pozytywny wpływ. Taka jest nasza obserwacja.</p> <p>Zuzi stan psycho-somatyczny jest bardzo dobry. Wcześniej mieliśmy z tym ogromny problem.</p> <p>Nie jesteśmy w stanie wyobrazić sobie teraz tego, że będziemy mieli własnych pieniędzy na zakup Kaftrio i Kalydeco. Dla nas to wyrok śmierci!</p> <p>Pozwalają one „w miarę normalnie” żyć Zuzi jak i innym pacjentom i mieć nadzieję na założenie rodziny i przedłużenie swego rodu. Leki te odciążają rodzinę jak i nasz system opieki medycznej w na każdej płaszczyźnie: finansowej, ekonomicznej, społecznej i każdej innej.</p> <p>Proszę o wzięcie pod uwagę tych spektakularnych rezultatów i dobrodziejstw jakie dają Kaftrio+Kalydeco.</p> <p>Jeżeli nie będą one refundowane w Polsce, będziemy zmuszeni opuścić nasz kraj i prosić o możliwość życia dla Zuzi tam, gdzie problemy tak ciężko chorych ludzi są rozumiane.</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
---	-------

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.)

* 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.

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.