

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

| Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT: | |
|--|--|
| Numer: | OT.4231.28.2021 |
| Tytuł: | Wniosek o objęcie refundacją leku Dupixent (dupilumab) w ramach programu lekowego „Leczenie ██████████ postaci atopowego zapalenia skóry u młodzieży w wieku od 12 do 17 lat (ICD 10 L20)” |

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:

Roman Nowicki

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

.....

Czego dotyczy DKI⁴:

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 2021 r., poz. 523, 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 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. z 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.)

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

L h

- 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. 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 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.

.....

⁵ niepotrzebne skreślić

L h

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

29.07.2021 k h-
Rozena Nowicki

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

| Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony) | Uwagi |
|---|---|
| Uwaga ogólna | <p>Atopowe zapalenie skóry (AZS) to choroba przewlekła, która występuje głównie u dzieci (10–20%) i utrzymuje się do wieku dorosłego u ok. 1/5 tej grupy. W ponad 60% przypadków występuje podwyższone ryzyko rozwoju objawów atopowych ze strony innych narządów. Atopowe zapalenie skóry to pierwszy krok w marszu atopowym, w którego przebiegu mogą się rozwinąć: alergia pokarmowa (15%), alergiczny nieżyt nosa (34%) i astma oskrzelowa (20–35%). Bardzo silny i uporczywy świąd, nadwrażliwość oraz widoczne zmiany zapalne na skórze i stygmatyzacja znacznie obniżają jakość życia i są często przyczyną niepokoju, zaburzeń snu, absencji w szkole i w pracy, izolacji społecznej, a także stanów depresyjnych, chorób psychicznych i myśli samobójczych. Dzieci z AZS są bardziej narażone na otyłość brzuszna i nadciśnienie tętnicze.</p> <p>Dupilumab jest pierwszą, przełomową terapią w atopowym zapaleniu skóry. Dotychczas nie było żadnych zarejestrowanych terapii w tym wskazaniu. Aktualnie w Polsce pacjenci w fazie zaostrzeń choroby zmuszeni są do stosowania terapii ratunkowych, tj. glikokortykosteroidy, które z kolei nie przynoszą długotrwałej poprawy. Jest wręcz odwrotnie, gdyż po zaprzestaniu doraźnej immunosupresyjnej terapii sterydowej, choroba nawraca, często ze zdwojoną siłą. Istnieje więc wyraźna potrzeba zapewnienia dostępności dla polskich pacjentów tej nowej i przełomowej terapii w leczeniu umiarkowanej do ciężkiej postaci AZS, która już od kilku lat jest standardem postępowania w Europie. Warto również nadmienić, że terapia dupilumabem jest zalecana przez wszystkie wiodące rekomendacje kliniczne w zakresie leczenia atopowego zapalenia skóry.</p> |
| Rozdz. 4.3 str. 39 | <p>Badanie LIBERTY AD ADOL miało na celu wykazanie skuteczności dupilumabu wśród pacjentów z atopowym zapaleniem skóry niedostatecznie kontrolowanym przez leczenie miejscowe lub dla których leczenie miejscowe było medycznie niewskazane. Populację badaną stanowili więc chorzy, u których brak jest aktualnie innych niż dupilumab zarejestrowanych terapii w leczeniu atopowego zapalenia skóry. Dupilumab, jako terapię dodaną do najlepszego leczenia wspomagającego porównywano z samym leczeniem wspomagającym oraz placebo (należy pamiętać, że placebo stanowi <i>sine qua non</i> podwójnie zaślepionych badań randomizowanych).</p> <p>W badaniu LIBERTY AD ADOL wykazano, że stosowanie dupilumabu z najlepszą terapią wspomagającą ok. 2-krotnie zmniejsza potrzebę stosowania GKS w porównaniu do samej terapii wspomagającej. Tym samym, stosowanie dupilumabu znacząco zmniejsza odsetek pacjentów, u których należy zastosować leczenie ratunkowe. W praktyce klinicznej jest to szczególnie ważny aspekt, ze względu na liczne działania niepożądane GKS, szczególnie wśród tak młodej populacji pacjentów. Należy również pamiętać, że zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej doustne glikokortykosteroidy dopuszczone są do leczenia AZS z ograniczeniem, głównie u pacjentów dorosłych, na czas do 1 tygodnia, w ściśle wyselekcjonowanych przypadkach, w zaostrzeniu choroby.</p> <p>W badaniu LIBERTY AD ADOL wykazano, że dupilumab powodował istotne klinicznie efekty w leczeniu umiarkowanej do ciężkiej postaci AZS w zakresie zmniejszenia nasilenia całkowitych objawów choroby w skalach IGA, EASI oraz SCORAD, znacząco poprawił jakość życia chorych, zmniejszył nasilenie łęku, depresji i zaburzeń snu, oraz szczególnie uciążliwy dla tych chorych świąd, mierzony skalą NRS.</p> |

2 h3

| | |
|----------|---|
| | Na podstawie danych z rejestrów oraz wyników open-label extension do badań klinicznych dupilumabu, wynika iż skuteczność tego leczenia w praktyce klinicznej jest porównywalna do obserwowanej w badaniach klinicznych. Tym samym nie ma podstaw do twierdzenia, aby skuteczność wnioskowanej terapii była mniejsza niż w głównym badaniu klinicznym. |
| Rozdz. 8 | Przyjęcie w kryteriach wykluczenia z programu lekowego wskaźnika EASI75 wykracza ponad cel terapeutyczny leczenia atopowego zapalenia skóry, a tym samym ograniczałoby możliwość kontynuacji skutecznej terapii u pacjentów, u których tę korzyść zaobserwowano. |

* 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 2021 r., poz. 523, z późn. zm.)

h m