

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.4231.34.2021
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Cablivi (kaplacyzumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie epizodu nabytej zakrzepowej plamicy małopłytkowej (ICD-10 M31.1)”

Uwagi (pkt. 2) wraz z wypełnioną i własnoręcznie podpisaną Deklaracją Konflikty 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 Konflikty 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 Konflikty 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 konfliktu 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:

Prof. dr. hab. med. Krzysztof Chojnowski.....

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

Dnia 27 września 2021.....

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)

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 2021 r., poz. 1285 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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.)

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

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

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

23.09.2021..... 

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

23.09.2021..... 

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Opinia ogólna eksperta w dziedzinie hemostazy	<p>Nabyta zakrzepowa plamica małopłytkowa (acquired thrombotic thrombocytopenic purpura, aTTP) jest chorobą ultraradką i jest medycznym stanem nagłym. Nabyta TTP jest chorobą autoimmunologiczną, w przebiegu której dochodzi do wytwarzania przeciwciał skierowanych przeciwko metaloproteinazie ADAMTS13. W wyniku braku tej proteiny w krążeniu pojawiają się olbrzymie multimery czynnika von Willebranda, które powodują aglutynację płytek krwi i powstawanie zakrzepów blokujących mikrokrążenie. Rozsiane mikrozakrzepy są odpowiedzialne za mechaniczne uszkodzenie erytrocytów, jest to tzw. niedokrwistość hemolityczna mikroangiopatyczna, małopłytkowość i niedokrwienie i uszkodzenie narządów wewnętrznych a przede wszystkim ośrodkowego układu nerwowego (OUN). Nabyta TTP jest obarczona wysoką śmiertelnością wynoszącą ok. 90% w przypadkach nieleczonych. Obecnie pomimo leczenia za pomocą terapeutycznej wymiany osocza i immunosupresji (np. glikokortykosteroidy i rytuksymab) śmiertelność utrzymuje się na poziomie 10%-20%.</p> <p>Wymiana osocza pozwala na usunięcie olbrzymich multimetrów czynnika von Willebranda, przeciwciał przeciwko ADAMTS13 i cytokin prozapalnych oraz dostarcza metaloproteinazę ADAMTS z świeżo mrożonym osoczem a leki immunosupresyjne hamują wytwarzanie przeciwciał. Mimo tak prowadzonego leczenia 10-20% chorych umiera przede wszystkim z powodu nieodwracalnego, niedokrwienego uszkodzenia ważnych dla życia narządów. U 20%-50% chorych dochodzi do kolejnego nawrotu choroby a u części pacjentów po przebytych incydencie występują trwałe uszkodzenia narządowe, zwłaszcza OUN.</p> <p>Ponieważ aTTP jest schorzeniem zagrażającym życiu, związanym z poważnymi konsekwencjami zdrowotnymi, w przebiegu którego stosunkowo często pojawia się oporność na leczenie lub nawrót, konieczne jest poszukiwanie nowych, skutecznych i co najistotniejsze szybko działających metod leczenia.</p> <p>Możliwości terapeutyczne aTTP zostały w Europie rozszerzone dzięki zarejestrowaniu nowego humanizowanego nanobiałka skierowanego przeciwko czynnikowi von Willebranda. Kaplacyzumab hamuje oddziaływanie płytek z olbrzymimi multimetrami czynnika von Willebranda i w konsekwencji zapobiega lub zmniejsza niedokrwienie narządów oraz spowalnia uszkodzenie mechaniczne erytrocytów i zużycie płytek krwi. W dwóch badaniach kontrolowanych metodą podwójnie ślepej próby oraz w serii doniesień z Niemiec, Francji i Wielkiej Brytanii lek ten wykazywał skuteczność w ograniczaniu liczby nawrotów, zmniejszaniu objętości i liczby plazmaferez, skracaniu hospitalizacji oraz zmniejszaniu dewastujących konsekwencji powstawania mikrozakrzepów.</p>

	<p>Reasumując: wprowadzenie do programu lekowego kapłacyzumabu przyczyni się do poprawy wyników leczenia aTTP ponieważ lek ten działa poprzez zupełnie inny mechanizm niż wymiana osocza i leki immunosupresyjne, uderzając w krytyczne dla patogenezы tej choroby wiązanie czynnika von Willebranda z płytkami.</p> <p>.....</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 analizы 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 analizы 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 analizы wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych

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.

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.

23.09.2021

KIEROWNIK
Zakładu Zaburzeń Hemostazy
Katedry Hematologii
Uniwersytetu Medycznego w Łodzi

prof. dr hab. n. med. Krzysztof Chojnowski

UNIwersytet MEDYCZNY w ŁODZI
ZAKŁAD ZABURZEŃ HEMOSTAZY
KATEDRY HEMATOLOGII
93-510 Łódź, ul. Ciołkowskiego 2
tel. 42-689-50-58, fax 042-689-51-92