

**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.4231.49.2021
<b>Tytuł:</b>	Vyndaqel (tafamidis) ramach programu lekowego „leczenia kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”

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](mailto: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:

KATARZYNA BRANOW

Dotyczy wniosku będącego przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Vyndaqel (tafamidis) ramach programu lekowego „leczenia kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”.

<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 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 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 spożywczych 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 spożywczych 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 spożywczych 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 spożywczych 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 spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych.

<sup>4</sup> zaznaczyć tylko 1 pole

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić



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.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

15.12.2021 *Kolpe Borek*

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**

15.12.2021 *Kolpe Borek*

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Rozdział 5.3.2.	<p>Dotyczy: <i>Analitycy poprawili omyłkę w wyborze</i> [redacted]</p> <p>Wnioskodawca zgadza się z poprawką wprowadzoną przez Analityków Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) w zakresie [redacted]. Należy zauważyć, iż po wprowadzeniu zmiany uzyskano korzystniejsze wyniki dla tafamidisu zarówno w zakresie kosztów, jak i skuteczności.</p>
Rozdział 6.1.2.	<p>Dotyczy: <i>Mając na uwadze dane przedstawione w rozdziale 3.3 Liczebność i charakterystyka populacji wnioskowanej, pochodzące z rzeczywistej praktyki w Polsce należy wskazać, że oszacowania...</i></p> <p>W opinii Wnioskodawcy zaprezentowane przez Analityków oszacowania liczebności populacji pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy bazujące na danych NFZ w znacznej mierze potwierdzają oszacowania wykonane w oryginalnym dokumencie Analizy wpływu na budżet (BIA). Warto zauważyć, że dane NFZ mają charakter zagregowany dla kilkuletniego okresu czasu (między styczniem 2014 r. a grudniem 2020 r.), a zatem oszacowana przez AOTMiT liczba 111 pacjentów odpowiada <math>111/7 = \text{ok. } 16</math> pacjentów rocznie, [redacted].</p> <p>Jednocześnie dane AOTMiT nie powinny być bezpośrednio traktowane jako oszacowanie rozpowszechnienia (tj. liczby pacjentów do natychmiastowego objęcia opieką w momencie ew. rozpoczęcia refundacji) ze względu na nieuwzględnienie przez AOTMiT śmiertelności – potencjalnie istotnego czynnika dla danych zebranych na przestrzeni 7 lat.</p> <p>Należy dodatkowo zauważyć, że w rozumieniu Wnioskodawcy, przyjęte przez AOTMiT podejście dotyczące uwzględnienia wszystkich pacjentów na podstawie właściwej kombinacji określonych kodów ICD-10 zgodnych z rozpoznaniem kardiomiopatii i amyloidozy może wiązać się z przypadkowym włączeniem do populacji pacjentów z jednostką chorobową niezgodną z wnioskowaniem (np. amyloidozą łańcuchów lekkich, gdzie zajęcie serca występuje u około 80% pacjentów<sup>6</sup>) co powoduje konieczność skorygowania liczby 111 w dół.</p>

<sup>6</sup> Grzybowski J, Szczygieł J, Gawor M, i in, Amyloidozą łańcuchów lekkich immunoglobulin z punktu widzenia kardiologa, *Hematologia* 2018, tom 9, nr 3, 222–238.



Rozdział 6.3.1.	<p>Dotyczy: Uwagę zwraca jednak fakt nieuzasadnionego konstruowania wariantów minimalnego i maksymalnego. Jak wykazano, populacja [redacted] będąca punktem wyjścia dla szacunku obciążenia finansowego, została wskazana w sposób niespójny....</p> <p>Wnioskodawca nie zgadza się ze stwierdzeniem, iż populacja [redacted] i będąca punktem wyjścia dla szacunku obciążenia finansowego została oszacowana w sposób niespójny. W odczuciu Wnioskodawcy w Analizie Weryfikacyjnej niestety nie przedstawiono dokładnej argumentacji, na podstawie której AOTMiT uznaje przyjęte założenia za niespójne, a jedynie przedstawiono alternatywne źródło danych i podejście do oszacowań, które dodatkowo wydaje się raczej potwierdzać wykorzystane w analizie wartości (por. wyżej). Należy podkreślić, że przedstawione w BIA oszacowanie liczby pacjentów objętych leczeniem od samego początku analizowanego w BIA okresu wynika z rzeczywistej liczby już zdiagnozowanych pacjentów (więc odnosi się do najbardziej wiarygodnych danych) i założonej liczby nowych przypadków (więc jest spójny z założeniami dot. zapadalności), co zostało zobrazowane w załączonym do raportu arkuszu kalkulacyjnym (arkusz: „parametry”). Jednocześnie Wnioskodawca z satysfakcją przyjmuje fakt, że zastrzeżenia AOTMiT koncentrują się na wariantach minimalnym i maksymalnym, podczas gdy wariant podstawowy jest tym, który w opinii Wnioskodawcy z największym prawdopodobieństwem się zrealizuje, więc ma największe znaczenie dla BIA.</p>
--------------------	--

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

### 3. Uwagi do analiz wnioskodawcy<sup>7</sup>

#### 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

<sup>7</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.)

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.