

**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.4231.56.2021
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Inrebic (fedratinibum) w ramach programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10: D47.1)”

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:**

Katarzyna Pawluczyk

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

.....  
Czego dotyczy DKI<sup>4</sup>:

<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 2021 r., poz. 523 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 2021 r., poz. 1285 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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.)

<sup>4</sup> 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 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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.),
- zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 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 pozostaję Pan/Pani we wspólnym pożyciu) relacje powodujące konflikt interesów. Opis powinien być możliwie zwięzły.

**Pracownik i pełnomocnik firmy Bristol-Myers Squibb**

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI

12.01.2022

Katarzyna Pawle

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

12.01.2022

Katarzyna Pawle

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Rozdział 3.6, str. 21, rozdział 4.1.3.2, strona 28	<p><i>Komentarze dotyczące terapii stosowanych ramach BAT</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Z uwagi na fakt, że bazując na danych literaturowych czy refundacyjnych nie było możliwe określenie udziału poszczególnych terapii stosowanych w ramach BAT w praktyce klinicznej w Polsce, praktyka ta została zdefiniowana w oparciu o dane uzyskane od ekspertów klinicznych. Informacje te należy uznać za wiarygodne. Różnice w tym jakie leki wchodzi w skład BAT w różnych państwach wynikają w dużej mierze z zasad refundacji w danym kraju. Przykładowo skład BAT w przytoczonej przez Analityków analizie dla Węgier obejmuje m.in. lenalidomid i talidomid, które nie są w Polsce finansowane ze środków publicznych w tym wskazaniu, podobnie jak i kontynuacja terapii RUX po spełnieniu kryteriów wykluczenia z programu lekowego.</p> <p>Identyfikacja badań eksperymentalnych, w których u chorych leczonych wcześniej RUX intencjonalnie stosowano BAT zgodny z tym stanowiącym praktykę kliniczną w Polsce był utrudniony, ze względu na zróżnicowanie praktyki klinicznej na świecie jak również względy etyczne. Tym samym w analizie uwzględniono badania mające na celu przybliżenie możliwego efektu terapeutycznego w grupie chorych stosujących BAT.</p> <p>Podkreślić należy, że przyjęte podejście w raporcie HTA dla ramienia BAT należy uznać, za konserwatywne, ponieważ w polskiej praktyce klinicznej z dużym prawdopodobieństwem wyniki uzyskiwane u chorych stosujących BAT byłyby mniej korzystne (m.in. ze względu na stosowanie RUX w badaniach w ramieniu BAT u części chorych). Reasumując, w ramieniu komparatora uwzględniono zawyżony efekt zdrowotny i zaniżone koszty leczenia.</p>
Rozdział 4.1.1, str. 22, Tabela 10	<p><i>Uwaga dotycząca kryteriów kwalifikacji do przeglądu w zakresie populacji docelowej</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> W opisie populacji uwzględniono kluczowe kryteria z programu lekowego obrazujące populację, której dotyczy wnioskowane wskazanie. Nie przytaczano precyzyjnie wszystkich kryteriów włączenia do programu lekowego, jednak poszukiwane badania zgodnie z celem analizy dotyczyć miały populacji w jak największym stopniu zbliżonej do populacji docelowej. Brak szczegółowych kryteriów z programu lekowego w kryteriach włączenia do przeglądu systematycznego nie wpływa negatywnie na wartość merytoryczną opracowania.</p> <p><i>Uwaga dotycząca dawkowania komparatora</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> W trakcie prac nad raportem HTA zmianie uległa Charakterystyka Produktu Leczniczego Jakavi® w zakresie dawkowania dla specyficznej podgrupy chorych z liczbą płytek krwi pomiędzy 50 000/mm<sup>3</sup> a &lt;100 000/mm<sup>3</sup>, które wcześniej w tej grupie chorych nie było precyzyjnie określone ze względu na ograniczone dowody. Należy jednak podkreślić, że doprecyzowanie to dotyczy niewielkiej grupy chorych i zmiana na nie wpływa negatywnie na wiarygodność oszacowań w analizach.</p> <p><i>Uwaga dotycząca uwzględnienia badania w formie abstraktu konferencyjnego</i></p> <p>W analizie na etapie uzupełniania analiz w związku z uwagami dotyczącymi minimalnych wymagań włączono jako dodatkowe źródło informacji w publikację w postaci abstraktu konferencyjnego. Badanie to nie spełniało kryteriów włączenia</p>

	jednak przedstawia ono istotne dane uzyskane w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej, dlatego też zdecydowano o jego uwzględnieniu.
Rozdział 4.1.3.2, strona 28	<i>Dodatkowe ograniczenie zidentyfikowane przez analityków dotyczące cross-over</i> Przejęcie części chorych z ramienia stosującego placebo na terapię FED zawiąza wyniki w grupie stosującej placebo, tym samym ich uwzględnienie w analizie jest podejściem konserwatywnym.
Rozdział 5.3.1, strona 59	<i>Uwaga dotycząca nieprawidłowego wykonania techniki analitycznej</i> Wnioskodawca stoi na stanowisku, że wybór techniki analitycznej i analityczny proces modelowania to dwa niezależne zagadnienia. Konstrukcja modelu, a więc również ekstrapolacja krzywych kontynuacji terapii i przeżycia całkowitego, powinna zostać wykonana precyzyjnie i odzwierciedlać najlepsze dostępne dane dla poszczególnych opcji terapeutycznych. Pozwala to na możliwie najdokładniejsze oszacowanie kosztów i wyników zdrowotnych. Dopiero finalny wybór techniki analitycznej (wykonywany w oparciu o wyniki analizy klinicznej) decyduje o tym, czy w wynikach opłacalności powinny zostać uwzględnione koszty i wyniki zdrowotne (CUA), czy wyłącznie koszty (CMA). Nie wyklucza to oczywiście możliwości wykonania w pewnych przypadkach modelowania uproszczonego, o którym wspomina AOTMiT (często jest to rozwiązanie praktyczne, przy czym mniej dokładne). Nie jest to jednak obowiązująca zasada realizacji techniki minimalizacji kosztów, znajdująca odzwierciedlenie w praktyce wykonywania analiz ekonomicznych na świecie, czy też opisana w wytycznych międzynarodowych.

\* 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

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

<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 2021 r., poz.523 z późn. zm.)


\* 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.