

**Formularz zgłaszania uwag do  
raportu Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  
i analiz Podmiotu Odpowiedzialnego**

<b>Formularz zgłaszania uwag do raportu AOTMiT:</b>	
<b>Numer:</b>	OT.4220.5.2021
<b>Tytuł:</b>	Ocena zasadności wprowadzenia czynnika VIII o przedłużonym działaniu w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej pn. "Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023"

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 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](mailto:sekretariat@aotm.gov.pl).**

UWAGA! Zgłoszone uwagi i deklaracja konflikty interesów będą publikowane w BIP AOTMiT<sup>1</sup>.

1. **Deklaracja o konflikcie interesów (DKI)<sup>2</sup>** – do wypełnienia w przypadku uwag do raportu

**Imię i nazwisko osoby składającej DKI dotyczącej złożenia uwag do upublicznionego raportu:**

...Iwona Kuter.....

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

Ocena zasadności wprowadzenia czynnika VIII o przedłużonym działaniu w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej pn "Narodowy program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023.

Czego dotyczy DKI<sup>3</sup>:

Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości

-dotyczącego: .....

Złożenie uwag do upublicznionego raportu Agencji

.....

<sup>1</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, poz. 1285 z późn. zm.)

<sup>2</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, poz. 1285 z późn. zm.)

<sup>3</sup> zaznaczyć tylko 1 pole

- 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 pożyciu<sup>4</sup>:

**nie zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz.2561),

**zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz.2561), 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.

...pracownik Spółki Takeda Pharma...upoważniony do reprezentowania

Wnioskodawcy.....

.....  
.....  
.....

<sup>4</sup> niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

22.06.2023 Iwona Kuter.....

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**

22.06.2023 Iwona Kuter.....

## 2. Uwagi do raportu AOTMiT

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>
Rozdział 4.3, str. 58	<p>Uwaga dotyczy stwierdzenia: „<b>Biorąc pod uwagę powyższe oraz biorąc pod uwagę zapisy Załącznika nr 8 Narodowego programu określające procedurę wdrażania nowej terapii do modułu 4 programu, należy wskazać, iż nie wykazano efektywności medycznej czynników VIII o przedłużonym działaniu w stosunku do leków dotychczas stosowanych i możliwych do realizacji w ramach budżetu) Narodowego Programu u pacjentów z ciężką hemofilią A</b>”</p> <p><u>Wnioskodawca nie zgadza się ze stwierdzeniem, iż w przedłożonych analizach nie wykazano efektywności klinicznej ocenianej interwencji.</u></p> <p>Wyniki analizy efektywności dla populacji dorosłych pacjentów z ciężką postacią hemofilii typu A wskazują, iż, produkt leczniczy Adynovi (rurioktokog alfa pegol) stosowany w ramach profilaktyki spersonalizowanej cechuje się wysoką skutecznością, o czym świadczą bardzo niskie roczne wskaźniki krwawień ogółem, krwawień spontanicznych oraz dostawowych oraz wysoki odsetek chorych, którzy nie doświadczyli żadnego krwawienia („zero bleeds”).</p> <p>W porównaniu do komparatorów stosowanych w ramach profilaktyki standardowej, dla których odnaleziono badania kliniczne spełniające kryteria włączenia do analizy, zastosowanie Adynovi w ramach profilaktyki spersonalizowanej w populacji dorosłych pacjentów z ciężką postacią choroby cechuje się numerycznie niższymi wskaźnikami krwawień ogółem.</p> <p>Wnioskodawca zgadza się, iż na skutek braku badań head-to-head nie wykazano <u>wyższej skuteczności klinicznej</u> ocenianej interwencji w porównaniu do aktualnej praktyki klinicznej w populacji docelowej. Należy jednak zauważyć, iż hemofilia jest chorobą rzadką co pociąga za sobą ograniczenia w zakresie możliwości przeprowadzenia badań porównawczych. Problem ten dotyczy w równym stopniu czynników osoczo pochodnych jak i rekombinowanych, o standardowym lub przedłużonym okresie półtrwania.</p> <p>Jednakże, niewątpliwą przewagą czynników o przedłużonym działaniu jest możliwość rzadszego podawania, co w przypadku infuzji dożylnych ma niebagatelne znaczenie dla pacjentów.</p>

---

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

### 3. Uwagi do analiz Podmiotu Odpowiedzialnego

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>

\* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnosi się uwaga; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.