

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

Formularz zgłaszania uwag do raportu AOTMiT:	
<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 20192023"

*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 przesać 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.***

UWAGA! Zgłoszone uwagi i deklaracja konfliktu 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:**

Ewelina Matuszak

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

.....

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

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

-dotyczącego: .....

<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 do upublicznionego raportu Agencji

~~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>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),

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), 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.

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

22.06.2023 r.



**Ewelina Matuszak**

<sup>4</sup> niepotrzebne skreślić

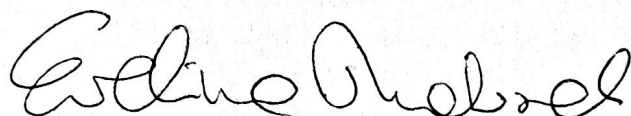
Wyrażam zgodę na gromadzenie, przetwarzanie i udostępnianie danych osobowych zawartych w DKI których podstawa przetwarzania nie wynika z wypełnienia obowiązku prawnego ciążącego na AOTMiT w celu identyfikacji konfliktu interesów zgodnie

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

Ewelina Matuszak

22.06.2023r.



## 2. Uwagi do raportu AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
37-59	<p>W Polsce leczenie pacjentów z hemofilia A odbywa się czynnikami rekombinowanymi (głównie dzieci) oraz osoczopochodnymi (dorośli). Czynniki długodziałające nie były do tej pory w Polsce stosowane. W opracowaniu brakuje porównania nowej terapii (czynniki długodziałające) do czynników konwencjonalnych. Opracowanie powinno być oparte na bezpośrednim porównaniu tych 2 technologii medycznych w zakresie:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- częstość podań dożylnych pomiędzy czynnikami konwencjonalnymi a czynnikami długodziałającymi</li> <li>- skuteczności w zakresie powstrzymywania krwawień pomiędzy czynnikami konwencjonalnymi a czynnikami długodziałającymi</li> </ul> <p>Na podstawie badań klinicznych oraz wytycznych leczenia hemofilii, czynniki długodziałające przynoszą więcej korzyści pacjentom z hemofilią od klasycznych czynników krzepnięcia.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- pozwalają zredukować liczbę dożylnych podań</li> <li>- wiążą się z lepszą kontrolą hemofilii (mniej krwawień po zastosowaniu czynników długodziałających)</li> <li>- są łatwiejsze w użyciu, zwłaszcza w porównaniu do czynników z osocza ludzkiego</li> <li>- lepiej chronią stawy</li> <li>- możliwe jest uzyskanie mniejszego zużycia czynnika długodziałającego</li> </ul>
Strony 59-72	<p>Opracowanie pomija ostatnie ceny uzyskane za czynnik długodziałający w terapii dorosłych pacjentów z hemofilią. Dostajemy informację o brakach w ofercie na czynniki z osocza. Ceny czynników osoczopochodnych ulegają dużym zmianom w zależności od podaży dawców osocza. Raport nie odnosi się do powyższych sytuacji. Nie uwzględniono również systemu zakupu czynnika dla dzieci: obecny model (przetargi co 2 lata), mrozi ceny, podczas gdy od zagranicznych parterów wiemy o spadkach cen na czynniki długodziałające nawet w przeciągu roku.</p>
Strona 80	<p>W dokumencie brakuje zdefiniowanej grupy, dla której należy zastosować czynniki długodziałające. Na podstawie badań klinicznych oraz wytycznych leczenia hemofilii, czynniki długodziałające przynoszą najlepsze efekty, gdy stosujemy je u:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- dzieci (zwłaszcza uprzednio nie leczonych)</li> <li>- dzieci, które przyjmują czynnik codziennie lub co drugi dzień</li> <li>- dzieci i dorosłych aktywnych fizycznie</li> <li>- dzieci i dorosłych u których profilaktyka nie jest skuteczna (dochodzi do wylewów dostawowych pomimo stosowanego czynnika krzepnięcia)</li> <li>- dzieci i dorosłych z trudnym dostępem naczyniowym</li> </ul>

\* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnoszą się wniesione uwagi; nie dotyczy



w przypadku uwag ogólnych.

### 3. Uwagi do analiz Podmiotu Odpowiedzialnego

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi

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

#### Literatura:

1. Łąguna P. i wsp. Postępowanie u dzieci i młodzieży z hemofilią a lub b: rekomendacje polskiego towarzystwa onkologii i hematologii dziecięcej. Przegląd Pediatryczny. 2022/Vol. 51/No. 1/41-54
2. Windyga J. i wsp. Część I: Wytyczne postępowania w hemofilii A i B niepowikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (wydanie zaktualizowane). Acta Haematologica Polonica Volume 47, Issue 2, April–June 2016, Pages 86-114
3. Srivastava A , Santagostino E , Dougall A , et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition . Haemophilia. 2020 : 00 : 1 - 158 .
4. Šaulytė Trakymienė S, Economou M, Kenet G, Landorph A, Shen C, Kearney S. Long-term safety and efficacy of N8-GP in previously treated pediatric patients with hemophilia A: Final results from pathfinder5. J Thromb Haemost. 2020;18(Suppl. 1):15–25.
5. Klamroth R et al. Rurioctocog alfa pegol PK-guided prophylaxis in hemophilia A: results from the phase 3 PROPEL study. Blood. APRIL 2021 | VOLUME 137, NUMBER 13
6. Nolan B, Mahlangu J, Pabinger I, et al. Recombinant factor VIII Fc fusion protein for the treatment of severe haemophilia A: Final results from the ASPIRE extension study. Haemophilia. 2020;00:1–9.