

**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.4231.10.2022  |
| <b>Tytuł:</b>  | Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Ocaliva (kwas obetycholowy) w ramach programu lekowego: „Leczenie pierwotnego żółciowego zapalenia dróg żółciowych (ICD-10: K74.3)” |

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 konfliktu 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 Klos

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

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

- Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości dotyczącego: .....

<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 2022 r., poz. 463 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, 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, poz. 1285 z późn. zm.)

<sup>4</sup> zaznaczyć tylko 1 pole

Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej

Złożenie uwag w związku z upubliczniętym 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 pozostaje Pan/Pani we wspólnym pożyciu) relacje powodujące konflikt interesów. Opis powinien być możliwie zwięzły.

.....  
**Jestem pracownikiem firmy AOP Orphan Pharmaceu7cals Poland Sp. z o.o. reprezentującej podmiot odpowiedzialny w postępowaniu o objęcie refundacją leku. Ocaliva oraz pobieram comiesięczne wynagrodzenie z firmy.....**  
**AOP Orphan Pharmaceu7cals Poland Sp. z o.o. za wykonywaną pracę.**  
.....

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

**21.09.2022 r. Katarzyna Klos**  
.....

**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**

**21.09.2022 r. Katarzyna Klos**  
.....

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

| Numer*<br>(rozdziału,<br>tabeli, wykresu,<br>strony)              | Uwagi   |
|---|---|
| Rozdział<br>4.1.4, str. 34  | <p>„W AKL wnioskodawcy pominięto wyniki z analizy post-hoc badań POISE i Kowdley 2018.”</p> <p>Zgodnie z Wytycznymi AOTMiT nie zaleca się włączania do analizy punktów końcowych zdefiniowanych w ramach analizy post hoc. Wyniki badań POISE i Kowdley 2018 zostały w AKL przedstawione na podstawie publikacji pełnotekstowych. Ponadto wyniki publikacji post hoc do powyższych badań (Pares 2020 i Harms 2020) nie dotyczą analizy specyficznych subpopulacji kluczowych dla analizy oraz są spójne z wynikami przedstawionymi w publikacjach pełnotekstowych.</p>  |
| Rozdział 5.3,<br>Tabela 37,<br>Rozdział<br>5.3.1,<br>Rozdział 5.4 | <p>„Wg wnioskodawcy nie odnaleziono badań spełniających kryteria włączenia dla populacji w pełni zgodnej z kryteriami włączenia do uzgodnionej w trakcie trwania procesu refundacyjnego wersji programu lekowego (w modelu nie uwzględniono danych dot. skuteczności klinicznej u pacjentów z nietolerancją kwasu ursodeoksycholowego (UDCA), u których kwas obetycholowy (OCA) jest stosowany w monoterapii). [REDACTED]</p> <p>[REDACTED]</p> <p>[REDACTED]</p> <p>[REDACTED]</p> <p>[REDACTED]</p> <p>[REDACTED]</p> <p>„Należy zwrócić uwagę, że w modelu wnioskodawcy nie uwzględniono danych dot. skuteczności klinicznej u pacjentów z nietolerancją kwasu ursodeoksycholowego (UDCA), u których kwas obetycholowy (OCA) jest stosowany w monoterapii, podczas gdy taka subpopulacja może być leczona wnioskowaną technologią wg proponowanego programu lekowego. Uwzględniono jedynie dane dot. skuteczności klinicznej u pacjentów z niedostateczną odpowiedzią na UDCA uzyskane z badania POISE, w którym zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy odsetek pacjentów z nietolerancją UDCA wynosi 7%.”</p> <p>[REDACTED]</p> <p>[REDACTED] co wynika z zapisów wnioskowanego programu lekowego.”</p> <p>[REDACTED]</p> <p>[REDACTED]</p> <p>[REDACTED]</p> |

|  |  |
|--|--|
|  | <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p> <p>[Redacted]</p>  |
| <p>Rozdział 5.3,<br/>Tabela 37,<br/>Rozdział 5.4</p> | <p>„W analizie przyjęto 45-letni (dożywotni) horyzont czasowy. Wg opisu rokowania pacjentów z PBC przedstawionego w analizie problemu decyzyjnego wnioskodawcy, średnie przeżycie od rozpoznania do zgonu wśród bezobjawowych chorych z PBC wynosi 16 lat (pacjenci leczeni dotychczas dostępnymi metodami, najczęściej UDCA). Istnieje zatem niepewność odnośnie długości horyzontu czasowego, który należałoby przyjąć w analizie. [Redacted]</p> <p>Średnie przeżycie chorych nie ma nic wspólnego z horyzontem czasowym analizy. Dopóki istnieje niezerowe prawdopodobieństwo przeżycia chorego, a więc generowanie efektu zdrowotnego wskutek przyjętej terapii, dopóty analiza ekonomiczna powinna uwzględniać ten wygenerowany efekt. 45-letni horyzont jest założeniem technicznym, jego długość jest podporządkowana temu, aby uchwycić w pełni wygaszoną krzywą przeżycia chorego. Horyzont 20-letni doprowadza do utraty części generowanego efektu zaobserwowanego po przeżyciu 20 lat od rozpoczęcia terapii, a zatem nie jest wystarczająco długi, aby możliwa była ocena wszystkich istotnych różnic między kosztami i wynikami ocenianej technologii medycznej oraz komparatora. Jest to zatem niezgodne z Wytycznymi AOTMiT.</p> <p>Zgodnie z <i>Wytycznymi AOTMiT</i> w niniejszej analizie testowano alternatywny horyzont czasowy – 20 lat. Wybrana wartość została przyjęta ze względu na wykorzystanie takiego horyzontu w literaturze – modelowaniu skuteczności stosowania leku Ocaliva® [CADTH 2017]. W raporcie przedstawionym kanadyjskiej agencji CADTH oprócz przyjętego horyzontu dożywotniego, ze względu na dyskusję analityków tamtejszej agencji, testowano także wspomnianą alternatywną wartość horyzontu czasowego.</p> |

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

### 3. Uwagi do analiz wnioskodawcy<sup>6</sup>

<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 2022 r., poz. 463 z późn. zm.)

### a. Uwagi do analizy klinicznej

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

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

### b. Uwagi do analizy ekonomicznej

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

\* 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

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

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

### d. Uwagi do analizy racjonalizacyjnej

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

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

