

**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.4231.65.2023
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o objęcie refundacją leku Aspaveli (pegcetakoplan) w leczeniu nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) (ICD-10 D59.5)

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:** Dr n. med. **Joanna Drozd-Sokołowska**

Dotyczy wniosku/ów będącego/ych przedmiotem obrad Rady Przejrzystości: Wniosek o objęcie refundacją leku Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach programu lekowego „Leczenie nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) (ICD-10 D59.5”

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

- Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości  
-dotyczącego: .....
- Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej  
.....

<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 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 pozostaje Pan/Pani we wspólnym pożyciu) relacje powodujące konflikt interesów. Opis powinien być możliwie zwięzły.

.....

.....

.....

.....

---

<sup>5</sup> niepotrzebne skreślić

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

**Data składania i podpis osoby składającej DKI**

.....

**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**

.....

## 2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

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

\* 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

<b>Numer*</b> (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	<b>Uwagi</b>
Strona 29	<p>Niedokrwistość jest problemem, który dotyczy około 40% pacjentów leczonych ekulizumabem przez co najmniej 3 miesiące. Nieoptymalna odpowiedź na ten lek może się wiązać z koniecznością przetoczeń koncentratu krwinek czerwonych, które z kolei wiążą się z ryzykiem wystąpienia powikłań poprzetoczeniowych (m. in. bezpośrednich reakcji poprzetoczeniowych, zakażeń, powstawania aloprzeciwciał odpornościowych, poprzetoczeniowego przeładowania żelazem).</p> <p>Poprzetoczeniowe przeładowanie żelazem jest stanem doprowadzającym do uszkodzenia wątroby, serca i układu endokrynnego. Dostęp do terapii, która umożliwiłaby redukcję konieczności stosowania leczenia wspomagającego pod postacią przetoczeń wydaje się istotna, szczególnie w populacji pacjentów z niedokrwistością w wyniku leczenia inhibitorem C5 (ekulizumabem).</p> <p>U części pacjentów leczonych ekulizumabem obserwuje się ponadto polimorfizm składowej C5 dopełniacza, co wiąże się z brakiem skuteczności ekulizumabu. U tej grupy pacjentów hemoliza jest stale aktywna. Dostępność terapii, która umożliwiłaby zahamowanie aktywacji układu dopełniacza poprzez inny mechanizm niż inhibicja składowej C5 znacznie poprawiłaby skuteczność leczenia nocnej napadowej hemoglobinurii u tej grupy pacjentów.</p>
Strona 33	<p>Warto podkreślić, że skuteczność pegcetokoplanu oceniano nie tylko w odniesieniu do ekulizumabu.</p> <p>W niedawno zakończonym badaniu PRINCE (NCT04085601) wykazano skuteczność pegcetokoplanu również u nowo zdiagnozowanych pacjentów z PNH u których w ramieniu kontrolnym stosowano leczenie w postaci przetoczeń, glikokortykoidów i innego leczenia wspomagającego. Znamienne jest, że pomimo stosowanych</p>

<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.)

	<p>przetoczeń u 61% pacjentów doszło w krótkim czasie do obniżenia stężenia hemoglobiny o co najmniej 2 g/dL. Z tego powodu, pacjenci ci zostali w dalszej części badania objęci leczeniem pegcekatoplanem. Na uwagę zasługuje fakt normalizacji stężenia Hb; obniżenia aktywności LDH do wartości prawidłowych, oraz uniknięcie przetoczeń u 94% pacjentów leczonych pegcekatoplanem w czasie 26 tygodniowego okresu obserwacji w tym badaniu.</p>
Strona 35	<p><u>Ekulizumab</u> jest lekiem podawanym co 14 dni we wlewie dożylnym, co stanowi poważną niedogodność dla pacjentów otrzymujących terapię przez całe życie. Jest to zabieg inwazyjny skutkujący wysokim wykorzystaniem zasobów opieki zdrowotnej. Istotne jest więc wdrożenie terapii o dogodnej formie podania, która byłaby komfortowa dla pacjenta i możliwa do podania w warunkach domowych, przez chorego lub opiekuna; dzięki temu możliwa byłaby eliminacja potrzeby dojazdu do placówki medycznej. Leczeniem takim mogłoby być zastosowanie pegcekatoplanu. Jest to lek podawany podskórnie dwa razy w tygodniu. Jego zastosowanie w sposób istotny podniosłoby komfort życia pacjentów z nocną napadową hemoglobinurią. Jednym z wykładników samopoczucia i normalizacji stanu chorych z PNH, jest również ocena za pomocą skali FACIT-F. Na podstawie badania Pegasus wyniki FACIT-F wzrosły w przypadku pegcetakoplanu o 9,2 punktu i spadły w przypadku ekulizumabu o 2,7 punktu, co dało skorygowaną średnią różnicę 11,9 punktów w 16 tygodniu badania. Ta różnica została uznana za klinicznie istotną. Ponadto 73% pacjentów w grupie leczonej pegcetakoplanem miało co najmniej 3-punktowy wzrost wyników FACIT-F w 16 tygodniu w porównaniu z 0% w grupie ekulizumabu. Zmiana 3-punktowa jest również uważana za klinicznie istotną.</p>

\* 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

\* 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**

<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.