

**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.423.1.33.2023
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”

*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.*

**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:** *Tomasz Barański w imieniu firmy Medison Pharma sp. z o.o.*

Dotyczy wniosku będącego przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”.

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

- ~~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 .....~~

<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)

<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

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 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.*

Pełnię funkcję Dyrektora Zarządzającego Medison Pharma sp. z o.o. (wnioskodawcy) mając umocowanie w postaci pełnomocnictwa udzielonego przez zarząd spółki.

.....  
.....

---

<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

Numer* (rozdział u, tabeli, wykresu , strony)	Uwagi
Uwagi ogólne	<p>Pragniemy zwrócić uwagę na to, że Polska była i wciąż jest jednym z wiodących krajów pod względem liczby zrekrutowanych pacjentów w prowadzonych badaniach klinicznych nad ocenianym produktem leczniczym. Można zatem stwierdzić, że polscy klinicyści mają wieloletnie doświadczenie w stosowaniu ocenianej technologii (mając na uwadze specyfikę prowadzenia badań klinicznych) a ich opinie mają przez to charakter nie tylko teoretyczny, ale jak najbardziej praktyczny.</p> <p>Pomimo braku prowadzenia rejestrów dla miastenii gravis, które jasno wskazywałyby zarówno na wielkość obecnie leczonej populacji jak i poszczególne podgrupy pacjentów, dostępne informacje i publikacje dotyczące tej choroby rzadkiej jak i informacje zebrane od polskich ekspertów, umożliwiają oszacowanie grupy chorych dla których oceniana technologia przyniosłaby największą korzyść terapeutyczną.</p>
6.3.1. s. 52	<p>Obecnie, miastenia gravis to choroba leczona w Polsce w sposób rozproszony. Pacjenci z reguły pozostają pod opieką poradni neurologicznych oraz w przypadku zaawansowanej choroby, ośrodków eksperckich w zakresie leczenia chorób nerwowo-mięśniowych, które przez lata budowały ekspertyzę w tym obszarze. Na brak skoordynowanej opieki opartej na referencyjności współpracujących ze sobą podmiotów leczniczych wskazują eksperci w raporcie pt. „Miastenia jako problem kliniczny i społeczny. Wyzwania dla optymalizacji opieki nad pacjentem w Polsce. Fundacja Zdrowie i Edukacja Ad Meritum. Warszawa, Maj 2023” (ISBN 978-83-966921-0-8).</p> <p>Powyższe powoduje, że w momencie wdrożenia nowej terapii na zasadach programu lekowego, uzyskanie dostępu do nowej opcji terapeutycznej przez pacjentów spełniających kryteria programu, będzie wymagało koordynacji i referencji pacjenta do odpowiedniego ośrodka. Ze względu na obecny model opieki oraz czas potrzebny na adopcję nowych rozwiązań, dostęp ten nie będzie natychmiastowy a budowanie doświadczeń w stosowaniu nowej technologii zostanie rozłożony na kolejne lata. Zaproponowany przez firmę Medison odsetek przejęcia rynku odzwierciedla powyższe ograniczenia. Jest również zgodny z informacjami uzyskanymi od ekspertów.</p>
9, s. 56, tabela 47	<p>Pragniemy zwrócić uwagę, że Włoska Agencja Lekowa AIFA wydała i opublikowała w dniu 12.07.2023 roku pozytywną decyzję refundacyjną dla ocenianej technologii. Raport dotyczący efgartigimod można znaleźć na stronie agencji (w języku włoskim): <a href="https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_454-2023_Vyvgart.pdf">https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_454-2023_Vyvgart.pdf</a></p> <p>Dodatkowo chcielibyśmy również zwrócić uwagę na opublikowaną przez AIFA ocenę innowacyjności ocenianej technologii (w języku włoskim): <a href="https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1957458/64_VYVGART_scheda_innovativita_GRADE.pdf">https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1957458/64_VYVGART_scheda_innovativita_GRADE.pdf</a></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>

#### 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

\* 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,	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 2016r., poz. 1536 z późn. zm.)

wykresu, strony)	

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