

**Formularz zgłaszania uwag do  
analiz 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.423.1.38.2024
<b>Tytuł:</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Zolgensma, <i>onasemnogenum abeparvovecum</i>, roztwór do infuzji, w ramach programu lekowego: „<b>B.102.FM. Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1)</b>”</li></ul>

*Uwagi (pkt 2) wraz z wypełnioną i własnoręcznie podpisaną Deklaracją o Powiązaniach Branżowych (pkt 1) należy złożyć osobiście w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, ul. Przeskok 2, 00-032 Warszawa, bądź przesłać na adres siedziby Agencji za pośrednictwem operatora pocztowego w rozumieniu art. 3 pkt 12 ustawy z dnia 23 listopada 2012 r. – Prawo pocztowe (Dz. U. z 2023 r. poz. 1640). Dopuszczalne jest również przesłanie uwag wraz z wypełnioną i podpisaną kwalifikowanym podpisem elektronicznym Deklaracją o Powiązaniach Branżowych za pomocą elektronicznej skrzynki podawczej, o której mowa w art. 16 ust. 1a ustawy z dnia 17 lutego 2005 r. o informatyzacji działalności podmiotów realizujących zadania publiczne (Dz. U. z 2023 r. poz. 57, 1123, 1234 i 1703).*

*Uwagi można zgłaszać w terminie 7 dni od dnia opublikowania analiz w Biuletynie Informacji Publicznej (BIP). Uwagi dostarczone do siedziby AOTMiT po upływie tego terminu nie będą rozpatrywane.*

*UWAGA! Zgłoszone uwagi i Deklaracja o Powiązaniach Branżowych będą publikowane w BIP AOTMiT<sup>2</sup>.*

**1. Część I -Deklaracja o Powiązaniach Branżowych (DPB)<sup>3</sup>** – do wypełnienia w przypadku uwag do 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. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)

<sup>2</sup> zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146..)

## DEKLARACJA O POWIĄZANIACH BRANŻOWYCH

### A. Dane osoby składającej deklarację oraz osób z nią związanych

1. Imię (imiona) i nazwisko oraz numer PESEL osoby składającej deklarację, a w przypadku gdy osoba ta nie posiada numeru PESEL – data i miejsce jej urodzenia oraz obywatelstwo:

Piotr Łobodziński [REDACTED]

2. Imię (imiona) i nazwisko małżonki/małżonka osoby składającej deklarację:

[REDACTED]

3. Imię (imiona) i nazwisko wstępnego/wstępnych w linii prostej osoby składającej deklarację:

[REDACTED]

4. Imię (imiona) i nazwisko zstępnego/zstępnych w linii prostej osoby składającej deklarację:

[REDACTED]

5. Imię (imiona) i nazwisko oraz numer PESEL osób, z którymi osoba składająca deklarację pozostaje we wspólnym pożyciu, a jeżeli nie posiadają numeru PESEL – daty i miejsca ich urodzenia oraz obywatelstwo:

[REDACTED]

### B. Powód złożenia i wskazanie okresu, za jaki jest składana deklaracja o powiązaniach branżowych (zaznaczyć właściwe)

- kandydat na członka Rady Przejrzystości za okres 3 lat poprzedzających dzień złożenia deklaracji; przed powołaniem do składu Rady Przejrzystości;
- członek Rady Przejrzystości przed każdym posiedzeniem Rady Przejrzystości za okres od dnia złożenia ostatniej deklaracji, w tym jako kandydata na członka Rady Przejrzystości, do dnia poprzedzającego posiedzenie Rady Przejrzystości, w którym bierze udział;
- osoba, o której mowa w art. 31s ust. 12 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146.), zwanej dalej „ustawą”, za okres jednego roku poprzedzającego dzień przyjęcia zlecenia;
- osoba, o której mowa w art. 31s ust. 15 ustawy, za okres jednego roku poprzedzającego dzień posiedzenia Rady Przejrzystości;
- osoba, o której mowa w art. 31s ust. 23 ustawy, za okres jednego roku poprzedzającego dzień zgłoszenia uwag.

### C. Oświadczenie (zaznaczyć właściwe)

Oświadczam, że w stosunku do mnie, mojego małżonka/mojej małżonki, mojego zstępnego, wstępnego w linii prostej oraz osoby/osób, z którymi pozostaję we wspólnym pożyciu:

- nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy;
- zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy, tj.:
  - 1) pełnienie funkcji członka organów spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym;
  - 2) pełnienie funkcji członka organu spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzących działalność gospodarczą w zakresie świadczenia usług prawnych, marketingowych lub doradczych związanych z wytwarzaniem, obrotem lub refundacją leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego;
  - 3) pełnienie funkcji członka organów spółdzielni, stowarzyszeń lub fundacji prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2;
  - 4) posiadanie akcji lub udziałów w spółkach handlowych prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2, oraz udziałów w spółdzielniach prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2;
  - 5) prowadzenie działalności gospodarczej w zakresie, o którym mowa w pkt 1 i 2;
  - 6) wykonywanie zajęć zarobkowych na podstawie stosunku pracy, umowy o świadczenie usług zarządczych, umowy zlecenia, umowy o dzieło lub innej umowy o podobnym charakterze zawartej z podmiotami, o których mowa w pkt 1-3, przy jednoczesnym braku złożenia oświadczenia o wykonywaniu zajęć zarobkowych na rzecz określonych podmiotów oraz braku wskazania ich zakresu.

W przypadku:

- 1) zaznaczenia, że nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy, oraz
- 2) wykonywania przez osobę albo osoby wskazane w deklaracji zajęć zarobkowych na podstawie stosunku pracy, umowy o świadczenie usług zarządczych, umowy zlecenia,

umowy o dzieło lub innej umowy o podobnym charakterze zawartej z podmiotami,  
o których mowa w art. 31s ust. 8 pkt 1-3 ustawy

– należy poniżej złożyć oświadczenie o wykonywaniu zajęć zarobkowych na rzecz określonych  
podmiotów i wskazać ich zakres.

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

W przypadku zaznaczenia przez osoby inne niż kandydaci na członków Rady Przejrzystości  
i członkowie Rady Przejrzystości, że zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy,  
należy poniżej opisać powiązania branżowe, w szczególności przez wskazanie podmiotu,  
z którym istnieje powiązanie branżowe, osoby wskazanej w deklaracji, której dotyczy  
powiązanie branżowe, zakresu występującego powiązania branżowego.

Piotr Łobodziński pracuje w Novartis Poland sp. z o.o. Warszawa ul. Marynarska 15

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Warszawa 31.07.2024 r.

(data i miejscowość złożenia deklaracji)

(podpis osoby składającej deklarację)

## 2. Część II - Uwagi

### 1. Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

	<b>Uwagi</b>
<p>Rozdział 5.3.1 str. 65-66</p>	<p><b>Komentarz w Analizie Weryfikacyjnej</b>  <i>Populacja objawowa:</i> W modelu populacji objawowej pacjentom w stanie B („chodzenie bez pomocy”) przypisano użyteczność z populacji ogólnej (za Golicki 2021). Opis stanu B wskazuje na możliwe pewne objawy choroby, które w opinii Analityków mogą mieć negatywny na jakość życia chorego. Założenie to jest niespójne z innymi założeniami wnioskodawcy dotyczącymi stanu B, m.in. uwzględnienia w nim kosztów wentylacji mechanicznej, rehabilitacji i fizjoterapii czy żywienia dojelitowego/pozajelitowego”.</p> <p><i>Populacja przedobjawowa:</i> „Użyteczność stanów HS-BRND („normalny rozwój w szerokim spektrum”), HS3a („chodzenie opóźnione”) oraz HS3b („SMA o opóźnionym początku”) przyjęto jako użyteczność w populacji generalnej (na podstawie Golicki 2017). Powyższym stanom przypisano koszty ze stanu B modelu dla populacji objawowej (opisano powyżej) które w opinii analityków wykraczają poza ponoszone w populacji generalnej.”</p> <p><b>Odpowiedź do komentarza</b>  <i>Populacja objawowa:</i> Do stanów B i A w modelu globalnym przypisano wartości użyteczności dla populacji ogólnej na podstawie publikacji <i>Golicki 2021</i> (według skali EQ-5D-5L). Założenie to <u>jest spójne</u> z innymi założeniami dotyczącymi kosztów uwzględnionymi w analizie. Mianowicie koszt opieki standardowej w stanie A przyjęto na poziomie wartości dla stanu B (analogicznie jak w przypadku użyteczności stanów zdrowia). Natomiast w ramach analizy wrażliwości testowano scenariusz, w którym przyjęto, że stan A będzie wiązał się z ponoszeniem wyłącznie kategorii kosztu takich jak: konsultacje lekarskie, rehabilitacja i fizjoterapia. Scenariusz taki daje nieco lepsze wyniki końcowe. Należy zatem podkreślić, iż przyjęcie spójnego podejścia zarówno do kosztów, jak i użyteczności dla stanu A i B (jednakowe wartości) jest założeniem konserwatywnym.  <i>Populacja przedobjawowa:</i> odpowiedź do komentarza jak wyżej dla populacji objawowej.</p>
<p>Rozdział 6.3.1 str. 73; Rozdział 10 str. 83 <i>Niepewność oszacowań populacji docelowej</i></p>	<p><b>Komentarz w Analizie Weryfikacyjnej</b>  <i>„Głównym ograniczeniem analizy wpływu na budżet wnioskodawcy jest niepewność związana z oszacowaną w ramach analizy liczebnością populacji docelowej, populacji pacjentów, którzy będą stosowali ON-A (a także NUS i RYS) w scenariuszu nowym oraz kształtowania się udziałów w przyszłości w rynku analizowanych leków”.</i></p> <p><b>Odpowiedź do komentarza</b>                      Biorąc pod uwagę korzyści wynikające z jak najszybszego wdrożenia leczenia SMA oraz ryzyko postępu choroby w przypadku zwłoki w rozpoczęciu terapii, w analizie uwzględniono jedynie pacjentów noworozpoznanych (nowozdiagnozowanych) z SMA w analizowanym okresie (10.2024-09.2034), spełniających kryteria programu lekowego. Zgodnie z kryteriami programu lekowego wszyscy pacjenci z populacji docelowej muszą być zdiagnozowani w ramach Narodowego Programu Badań Przesiewowych Noworodków w Polsce. Objawy w momencie skringingu występują u ok. 11% chorych. Na populację docelową składają się zatem zarówno pacjenci z objawowym, jak i przedobjawowym SMA, przy czym większość pacjentów stanowić będą zatem pacjenci z SMA na etapie przedobjawowym choroby. Wielkość populacji pacjentów z SMA objętych leczeniem w ramach programu lekowego została określona w oparciu o dane GUS, wyniki Narodowego Programu Badań Przesiewowych Noworodków w Polsce (NPBPN) oraz zidentyfikowane, najbardziej wiarygodne dane epidemiologiczne. Udziały leków zostały oszacowane na podstawie aktualnych danych NFZ dotyczących liczby pacjentów &lt;1 roku życia, u których stosowane są leki z programu B.102.FM. Wykorzystano zatem dane, które w wiarygodny sposób pozwalają oszacować liczebność populacji docelowej oraz udziały w rynku. Ponadto w analizie założono konserwatywnie, że liczba żywych urodzeń w Polsce dla analizowanego okresu będzie stała. Biorąc pod uwagę prognozę ludności na lata 2023-2060 opracowaną przez GUS, która wskazuje, że liczba urodzeń w Polsce będzie sukcesywnie malała, nie ma obaw, że wydatki płatnika mogły zostać niedoszacowane, a wręcz przeciwnie, bardziej prawdopodobne jest, że mogły zostać przeszacowane.</p> <p>W AWA Konsultantka Wojewódzka w dziedzinie neurologii dziecięcej Prof. dr hab. n. med. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska wskazuje, że u ok. 28 pacjentów rocznie oceniana technologia byłaby stosowana po objęciu jej refundacją. Podana powyżej wielkość jest zbieżna z liczebnością uwzględnioną w analizie wpływu na budżet Wnioskodawcy, co stanowi potwierdzenie poprawności przeprowadzonych kalkulacji. Ponadto należy podkreślić, że w rozdziale 6.3 Analizy weryfikacyjnej (str. 72, Tabela 41) oceniającym metodykę analizy wpływu na budżet nie wskazano, że założenia dotyczące liczebności populacji oraz zmian</p>

	<p>w analizowanym rynku leków zostały nieprawidłowo uzasadnione, ani których parametrów dotyczy niepewność związana z przeprowadzonymi oszacowaniami.</p> <p>Tym samym stwierdzenie przedstawione w AWA, że „głównym ograniczeniem analizy wpływu na budżet wnioskodawcy jest niepewność związana z oszacowaną w ramach analizy liczebnością populacji docelowej (...)” może prowadzić do błędnego wnioskowania.</p>
--	--

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

### 3. Uwagi do analiz wnioskodawcy

#### a. Uwagi do analizy klinicznej

<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.

#### b. Uwagi do analizy ekonomicznej

<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.

#### c. Uwagi do analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych

<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.

#### d. Uwagi do analizy racjonalizacyjnej

<b>Numer*</b>	<b>Uwagi</b>
---------------	--------------

(rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	

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

## Klauzula informacyjna o przetwarzaniu danych osobowych

### Informacja dotycząca przetwarzania danych osobowych zawartych w DPB

Zgodnie z art. 13 ust. 1 i ust. 2 rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z 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 (Dz. Urz. UE L 119 Z 04.05.2016, str. 1, Dz. Urz. UE L 127 23.05.2018, str. 2 oraz Dz. Urz. UEL 74 z 04.03.2021, str. 35) (dalej: „RODO”), przedstawiam, następujące informacje:

- 1) administratorem danych osobowych jest Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z siedzibą w Warszawie, przy ul. Przeskok 2 (kod pocztowy: 00-032), działająca na podstawie art. 31 m ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146.), identyfikowana Numerem Identyfikacji Podatkowej (NIP): 5252347183 i Numerem Rejestru Jednostek Gospodarki Narodowej (REGON):140278400, adres e-mail: sekretariat@aotm.gov.pl, tel. 22 101 46 00;
- 2) administrator wyznaczył Inspektora Ochrony Danych, z którym może Pani /Pan skontaktować się w sprawach ochrony swoich danych osobowych pisemnie na adres naszej siedziby wskazany w pkt 1 lub drogą mailową [iod@aotm.gov.pl](mailto:iod@aotm.gov.pl);
- 3) cel przetwarzania danych osobowych jest związany z weryfikacją występowania lub braku występowania konfliktu interesów osoby składającej DPB;
- 4) informujemy, iż przetwarzanie Pani/Pana danych osobowych jest zgodne z prawem, gdyż spełniony jest warunek legalności przetwarzania określony w art. 6 ust. 1 lit. c RODO, tj. niezbędności wypełnienia obowiązku prawnego wynikającego z art. 31s ust. 8, 8a, 8c, 23 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146.);
- 5) informujemy, iż podanie przez Panią/Pana danych osobowych związane jest wymogiem ustawowym wynikającym z art. 31s ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146.);
- 6) informujemy, że podane przez Panią/Pana dane osobowe przetwarzamy w oparciu o przepisy prawa. Podanie danych wymaganych przepisami prawa jest niezbędne do dokonania weryfikacji występowania lub braku występowania powiązania branżowego osoby składającej DPB. W przypadku osób składających DPB przy zgłaszaniu uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej Agencji, brak podania danych będzie skutkowało nieopublikowaniem tych uwag w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji;
- 7) informujemy, iż przy przetwarzaniu Pani/Pana Administrator nie powołuje się na prawnie uzasadniony interes, o którym mowa w art. 6 ust. 1 lit. f RODO;
- 8) informujemy, iż Pani/Pana dane osobowe będą udostępniane podmiotom, które uprawnione są do ich otrzymania na podstawie przepisów prawa lub podmiotom, którym Administrator powierzył przetwarzanie danych osobowych na podstawie zawartej umowy. W przypadku danych osobowych zawartych w DPB, składanej przy zgłaszaniu uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej Agencji, będą one upubliczniane w Biuletynie Informacji Publicznej



Agencji (art. 31s ust. 23 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146.);

- 9) informujemy, iż posiada Pani/Pan prawo dostępu do treści swoich danych osobowych, prawo do ich sprostowania, ograniczenia przetwarzania;
- 10) informujemy, iż nie przysługuje Pani/Panu w związku z art. 17 ust. 3 lit. b i d RODO prawo do usunięcia danych osobowych, prawo do przenoszenia danych osobowych, o którym mowa w art. 20 RODO, na podstawie art. 21 RODO prawo do sprzeciwu, wobec przetwarzanych danych osobowych, gdyż podstawą przetwarzania Pani/Pana danych osobowych jest art. 6 ust. 1 lit. c RODO w zw. z art. 31s ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146.);
- 11) informujemy, iż Pani/Pana dane osobowe będą przechowywane przez czas niezbędny do przeprowadzenia weryfikacji występowania lub braku powiązania branżowego, a następnie przez czas wynikający z przepisów o archiwizacji oraz zgodnie z obowiązującą w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji Instrukcją kancelaryjną i Jednolitym Rzeczowym Wykazem Akt;
- 12) Informujemy, iż przysługuje Pani/Panu prawo wniesienia skargi do organu nadzorczego, jeśli Pani/Pana zdaniem, przetwarzanie danych osobowych Pani/Pana - narusza przepisy unijnego rozporządzenia RODO;
- 13) informujemy, iż Pani/Pana dane osobowe nie będą przetwarzane w sposób zautomatyzowany i nie będą podlegały zautomatyzowanemu podejmowaniu decyzji, w tym profilowaniu.
- 14) informujemy, iż Pani/Pana dane osobowe nie będą przekazywane do państwa trzeciego/organizacji międzynarodowej.