

**Formularz zgłaszania uwag do
analiz weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
i analiz wnioskodawcy¹**

Formularz zgłaszania uwag do analiz weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	WS.423.3.2024
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Elrexfio (elranatamab) w ramach programu lekowego B.54. Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)

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, z 2024 r. poz. 467,1222). 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 2024 r. poz. 1557).

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 AOTMiT².

1. Część I – Deklaracja o Powiązaniach Branżowych (DPB) – do wypełnienia w przypadku uwag do analiz weryfikacyjnej

¹ 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 2024 r., poz. 930)

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

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:

Patrycja Prząda-Machno,

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

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

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

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

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

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

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

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:

.....

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.

Przedstawiciel / pracownik wnioskodawcy w przedmiotowym postępowaniu refundacyjnym Pfizer Polska Sp. z o.o.

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

.....
.....

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

...2024-11-14.....

(data i miejscowość złożenia deklaracji)



Signed by /
Podpisano przez:

Patrycja Monika
Prząda-Machno

Date / Data: ...
2024-11-14 17:35

(podpis osoby składającej deklarację)

2. Część II – Uwagi

1) Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
rozdz. 8	<p>Pozytywna rekomendacja NICE dla ERL. W uzupełnieniu aktualnych rekomendacji, należy podkreślić, że 29.10.2024 r. NICE wydał pozytywną rekomendacją dla <u>elranatamabu</u>, jako opcji leczenia nawrotowego i opornego szpiczaka mnogiego u dorosłych po zastosowaniu 3 lub więcej linii leczenia (w tym leku immunomodulującego, inhibitora proteasomu i przeciwciała anti-CD38). https://www.nice.org.uk/guidance/gid-ta10918/documents/674</p>
rozdz. 8	<p>ERL na liście priorytetów refundacyjnych w hematologii. Zwracamy uwagę, że ERL został wskazany przez Grupę Ekspertów zrzeszonych w Polskim Towarzystwie Hematologów i Transfuzjologów jako priorytet refundacyjny na rok 2024. Priorytety refundacyjne dla terapii przeciw nowotworom hematologicznym zostały określone na podstawie głosów członków zarządu Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów wyrażonych w formie ankiety. Podkreślamy, że ERL został umieszczony na liście już w momencie dostępności pierwszych danych klinicznych (mediana okresu obserwacji 15 miesięcy). W najnowszych doniesieniach długotrwałą skuteczność kliniczną potwierdzono w horyzoncie 28 miesięcy (Tomasson 2024). https://hematoonkologia.pl/aktualnosci/id/6908-priorytety-refundacyjne-w-hematoonkologii-top-ten-hemato-2024 Tomasson MH, Iida S, Niesvizky R, et al. Long-term survival and safety of elranatamab in patients with relapsed or refractory multiple myeloma: Update from the MagnetisMM-3 study. <i>Hemasphere</i>. 2024;8(7):e136. Published 2024 Jul 24. doi:10.1002/hem3.136</p>
str. 13 i str. 88	<p>Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Wskazanie rejestracyjne odpowiada wnioskowanemu wskazaniu dla ERL w ramach programu lekowego. Zapis w programie lekowym obejmuje bardziej precyzyjny opis progresji choroby, niż syntetyczny opis umieszczony w ChPL. Doprecyzowanie ma na celu uniknięcie rozbieżności przy definiowaniu progresji w momencie włączenia do leczenia. Zgodnie z Zalecaniami Polskiej Grupy Szpiczakowej 2022/2023, szpiczak oporny i nawrotowy jest definiowany jako brak odpowiedzi lub progresja w trakcie terapii lub w czasie 60 dni od jej zakończenia. Również zgodnie z opisem choroby opornej i nawrotowej podanym w Wytycznych postępowania diagnostyczno-terapeutycznego u chorych na nowotwory z 2020 r., „oporność na chemioterapię szpiczaka plazmocytozy (PCM, plasma cell myeloma) to brak odpowiedzi lub odpowiedź krótsza niż 60 dni”. Podobnie w badaniu rejestracyjnym (badanie MagnetisMM-3) oporność była zdefiniowana jako postęp choroby, który nastąpił w trakcie terapii lub w ciągu 60 dni od podania ostatniej dawki w dowolnej linii leczenia, niezależnie od odpowiedzi na leczenie.</p>

	<p>Uzgodniony z Ministerstwem Zdrowia (bardziej precyzyjny) opis odpowiada obowiązującemu zapisowi w programie lekowym dla TEK. Podobnie jak ERL, również TEK ma w swoich ChPL uproszczony opis wskazania.</p> <p>https://hematoonkologia.pl/polska-grupa-szpiczakowa/zalecenia/id/6245-aktualne-zalecenia-polskiej-grupy-szpiczakowej-dotyczące-rozpoznawania-i-leczenia-szpiczak http://onkologia.zalecenia.med.pl/</p>
rozd. 4.2	<p>Długotrwała skuteczność kliniczna została potwierdzona w przedłużonej obserwacji. Zwracamy uwagę, że w analizie weryfikacyjnej <u>nie uwzględniono wyników z przedłużonej obserwacji badania MagnetisMM-3.</u> Wyniki zostały opublikowane, po dacie odjęcia pierwotnego raportu i zostały szczegółowo opisane w ramach uzupełnienia i odpowiedzi na minimalne wymagania (Uwaga nr 4 na stronach 53-64).</p> <p>Opublikowane wyniki były analizowane na dzień 26 marca 2024 r. przy medianie czasu obserwacji wynoszącej 28,4 miesiąca:</p> <ul style="list-style-type: none">• mediana całkowitego przeżycia (OS) wyniosła 24,6 miesiąca (95% CI, 13,4–NE);• mediana przeżycia wolnego od progresji (PFS) wyniosła 17,2 miesiąca (95% CI, 9,8– [NE];• odsetek obiektywnych odpowiedzi (ORR) wyniósł 61,0%;• odsetek całkowitych odpowiedzi (CR) wyniósł 37,4% pacjentów;• prawdopodobieństwo utrzymania odpowiedzi po 24 miesiącach wyniosło 66,9%. <p>Tym samym wykazano utrzymującą się, długotrwałą skuteczność kliniczną jak również nie zgłoszono nowych sygnałów dotyczących bezpieczeństwa terapii.</p> <p>Tomasson MH, Iida S, Niesvizky R, et al. Long-term survival and safety of elranatamab in patients with relapsed or refractory multiple myeloma: Update from the MagnetisMM-3 study. <i>Hemasphere</i>. 2024;8(7):e136. Published 2024 Jul 24. doi:10.1002/hem3.136</p>
rozd. 3.6	<p>Zasadność komparatora na dzień złożenia wniosku i proaktywne uwzględnienie TEK jako odpowiedź na zmianę standardu postępowania.</p> <p>W ramach §3 minimalnych wymagań, analizy muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku. W momencie składania analiz dla elranatamabu, TEK nie był objęty refundacją i nie stanowił odpowiedniego komparatora. Dodatkowo otrzymał negatywną rekomendację Prezesa AOTMiT, a sam przebieg negocjacji nie jest jawny. Stąd w momencie składania wniosku refundacyjnego nie było możliwe przyjęcie innego komparatora niż terapia standardowa.</p> <p><u>Strategia wyboru komparatorów jest spójna z podejściem analitycznym do wyboru komparatorów w raporcie dla TEK – strategia została przyjęta przez analityków AOTMiT bez zastrzeżeń.</u></p> <p>Dodatkowo zgodnie z Zaleceniami Polskiej Grupy Szpiczakowej 2022/2023 , "przy dostępności wielu klas leków stosowanych w terapii opornego/nawrotowego szpiczaka plazmacytowego (...) obecny stan wiedzy nie pozwala jednoznacznie wskazać optymalnej sekwencji terapii. Wobec tego nie można sformułować jednolitego standardu postępowania w nawrocie szpiczaka i zaleca się zindywidualizowane podejście do chorego w oparciu o ogólne wskazówki. Wybór sposobu leczenia nawrotu lub progresji jest uwarunkowany szeregiem czynników takich jak stan biologiczny,</p>

	<p>wiek, choroby współistniejące, stosowane wcześniej leczenie w kontekście nie tylko skuteczności, ale także toksyczności oraz preferencje pacjenta."</p> <p>Tym samym przyjęcie jako komparator, komparatora złożonego („koszyk” schematów terapeutycznych) było zasadne i spójne z zaakceptowanym podejściem analitycznym dla TEK (AWA TEK).</p> <p>W odpowiedzi na minimalne wymagania rozszerzono zakres raportu o TEK jako dodatkowy komparator. Wskazujemy również, że w ramach uwag Agencji, TEK nie został wskazany jako potencjalny komparator (na dzień wysłania uwag lek TEK nie był refundowany), jego włączenie było proaktywne w związku z objęciem refundacją leku TEK z dniem 01.10.2024r. i zmianą standardu postępowania w tym Programu Lekowego. Wybór komparatorów został uznany przez analityków AOTMiT za zasadny (tab.8 „Podmiot odpowiedzialny spełnił wymogi art. 25 pkt 14 lit. c tiret pierwsze ustawy o refundacji”).</p> <p>Jednocześnie nie wykluczono terapii standardowej, która w momencie składania wniosku stanowiła jedyną dostępną opcję terapeutyczną (TEK jest refundowany od października 2024) oraz stanowiła komparator dla TEK.</p> <p>Mając na uwadze dostępność refundacyjną TEK, który jest z tej samej grupy terapeutycznej, ma podobne wskazanie rejestracyjne, jest podobnie pozycjonowany w wytycznych, przy podobnej jakości dowodów klinicznych, należy uznać, że aktualnie to TEK jest realną technologią opcjonalną dla ERL. W opinii Analityków Agencji zawarty w uzupełnieniu analiz wnioskodawcy TEK jako komparator jest zasadnym wyborem.</p> <p>Tym samym w momencie wydawania rekomendacji, punktem odniesienia powinien być teklistamab.</p>
<p>rozd. 3.6</p>	<p>Jakość dowodów dla ERL odpowiada dowodom dla TEK.</p> <p>Poziom dowodów naukowych dla ERL jest taki sam jak dla TEK, który był oceniany przez AOTMiT w styczniu 2024 r. Podobne są również ich ograniczenia, w tym uwzględnienie badania jednoramiennego i porównanie pośrednie ze standardową terapią tj. zbiorem różnych terapii i schematów leczenia refundowanych w Polsce w populacji docelowej, które stanowią aktualną praktykę.</p> <p>Pomimo ograniczeń dotyczących badania rejestracyjnego i braku porównania <i>head to head</i> z komparatorem , wniosek refundacyjny teklistamabu został uznany przez analityków i lek uzyskał refundację w październiku 2024 r.</p>
<p>rozd. 5.3.1 rozd. 5.4 rozd. 6.3</p>	<p>Bazowanie na wiedzy i doświadczeniu ekspertów klinicznych.</p> <p>W przypadkach raportów dla ERL, jak i TEK posłużono się wiedzą i doświadczeniem ekspertów klinicznych zarówno w kontekście struktury leków w ramach terapii standardowej, jak również rozpowszechnienia terapii w populacji docelowej w analizie wpływu na budżet.</p> <p>Dodatkowo należy podkreślić, że w Polsce nie jest prowadzony powszechny rejestr chorych na szpiczaka, a dane NFZ są zagregowane (dają możliwość oceny wyłącznie liczby chorych leczonych konkretną terapią, a nie odpowiadają na pytania o liniowość i sekwencje terapeutyczne).</p> <p>W przypadku braku innych dostępnych danych, wykorzystanie wiedzy eksperckiej jest standardowym źródłem wiarygodnych danych przybliżających realne dane kliniczne. Wykorzystanie danych z innych rynków, bądź założeń wnioskodawcy byłoby obarczone jeszcze większą niepewnością.</p> <p>Zgodnie z Zaleceniami Polskiej Grupy Szpiczakowej 2022/2023 wybór sposobu leczenia nawrotu lub progresji jest uwarunkowany szeregiem czynników takich jak stan biologiczny, wiek, choroby współistniejące, stosowane wcześniej leczenie w kontekście nie tylko skuteczności, ale także toksyczności oraz preferencje pacjenta, stąd</p>

	<p>indywidualizacja terapii wymaga posiątkowania się wiedzą i doświadczeniem ekspertów klinicznych.</p>										
<p>AWA str. 21-22</p>	<p>Strategia przeglądów systematycznych została nakierowana zarówno na koszyki standardowych terapii, jak i specyficznie na pojedyncze jego składowe oraz dodatkowo na teklistamab.</p> <p>Dla elranatamabu w monoterapii komparatorem jest koszyk standardowych terapii stosowanych w leczeniu szpiczaka. Skład koszyka terapii stosowanych w populacji docelowej w Polsce określono w oparciu o badanie ankietowe (-). Pierwotna strategia nie zakładała koncentracji na pojedynczych aktywnych terapiach. Zgodnie z kryteriami włączenia (patrz rozdz. 3.1.1 AK) poszukiwano badań pierwotnych dla koszyka terapii stosowanych w leczeniu TCE/TCR MM umożliwiających przeprowadzenie porównania pośredniego z ELR. Należy podkreślić, że w raporcie dla ERL wykorzystano podejście analityczne i wnioski zostały zaczerpnięte z raportu oraz analizy weryfikacyjnej dla TEK .</p> <p>W ramach odpowiedzi na minimalne rozszerzono podejście analityczne poprzez wyszukiwanie nakierowane na pojedyncze składowe koszyka komparatorów oraz dodatkowo nakierowane na TEK.</p> <p>Przyjęcie kryteriów wykluczenia dla uzyskania homogeniczności badań.</p> <p>Kryterium wykluczenia, tj. badania dedykowane specyficznym podgrupom jak osoby starsze, zostało przyjęte w kontekście utrzymania homogeniczności dowodów naukowych względem badania MagnetisMM-3, w którym mediana wieku wyniosła 68 lat (z czego 35% chorych było w wieku poniżej 65 lat).</p> <p>We włączonym badaniu LocoMMotion mediana wieku wyniosła 68 lat, co gwarantowało spójność między porównywanymi badaniami. Natomiast w wykluczonym badaniu Hlavacek 2023, które dotyczyło obserwacji specyficznej podgrupy chorych 65+ roku życia, średnia wieku wyniosła 76 lat.</p> <p>Neograniczająca strategia wyszukiwania.</p> <p>Odnosnie strategii wyszukiwania i wykorzystania operatorów logicznych, zwracamy uwagę, że kolejny wiersz zapytania w strategii wyszukiwania ma charakter rozszerzający i uzupełnia wskazywane przez analityków ograniczenie. Łączne traktowanie obu fragmentów zapytań (#9 OR #12) powoduje, że żadne z badań nie zostało pominięte na etapie opracowania strategii.</p> <table border="1" data-bbox="367 1691 1396 1910"> <tr> <td data-bbox="367 1691 566 1758">#9</td> <td data-bbox="566 1691 1396 1758">(Standard of Care [tw]) OR (Standards of Care [tw]) OR (choice of treatment [tw]) OR (PCT [tw]) OR (SoC [tw]) OR (Conventional Care [tw]) OR (Conventional Treatment [tw])</td> </tr> <tr> <td data-bbox="367 1758 566 1792">#10</td> <td data-bbox="566 1758 1396 1792">control arms [tw] or control arm [tw]</td> </tr> <tr> <td data-bbox="367 1792 566 1825">#11</td> <td data-bbox="566 1792 1396 1825">real-world [tw] OR rwe [tw]</td> </tr> <tr> <td data-bbox="367 1825 566 1870">#12</td> <td data-bbox="566 1825 1396 1870">#10 AND #11</td> </tr> <tr> <td data-bbox="367 1870 566 1910">#13</td> <td data-bbox="566 1870 1396 1910">#9 OR #12</td> </tr> </table>	#9	(Standard of Care [tw]) OR (Standards of Care [tw]) OR (choice of treatment [tw]) OR (PCT [tw]) OR (SoC [tw]) OR (Conventional Care [tw]) OR (Conventional Treatment [tw])	#10	control arms [tw] or control arm [tw]	#11	real-world [tw] OR rwe [tw]	#12	#10 AND #11	#13	#9 OR #12
	#9	(Standard of Care [tw]) OR (Standards of Care [tw]) OR (choice of treatment [tw]) OR (PCT [tw]) OR (SoC [tw]) OR (Conventional Care [tw]) OR (Conventional Treatment [tw])									
#10	control arms [tw] or control arm [tw]										
#11	real-world [tw] OR rwe [tw]										
#12	#10 AND #11										
#13	#9 OR #12										
	<p>Poprawna aktualizacja strategii.</p>										

	<p>Wykorzystana strategia została przygotowana pod kątem objęcia specyficznych schematów terapeutycznych (wymienionych z nazwy). Przez aktualizację strategii jest rozumiane objęcie przeglądem okresu, który nie został pokryty przez wyszukiwanie w TEK, a nie bezpośrednie powielenie strategii wykorzystanej w raporcie dla TEK. Formalna strategia wyszukiwania dla indywidualnych terapii jest pochodną strategii pierwotnie wykorzystywanej w przeglądzie dla „koszyka” technologii. Ma to na celu zachowanie spójność strategii wyszukiwania w całym dokumencie.</p>
AWA str. 22	<p>Badania zostały uwzględnione w pierwotnej wersji raportu lub uzupełnieniu.</p> <p>Badanie Tomasson 2024 zostało przedstawione w ramach uzupełnienia analiz względem minimalnych wymagań w rozdziale 4 na str. 53-64.</p> <p>Badanie Mol 2024 (podobnie jak Mol 2023), zostało formalnie wykluczone z przeglądu opracowań wtórnych (nie spełniło kryteriów przeglądu systematycznego w ramach definicji badania wtórnego). Jednak oba zostały włączone do analizy jako źródła danych dotyczących porównania pośredniego. Kluczowe informacje zostały wykorzystane i szczegółowo opisane w rozdz. 8 analizy klinicznej w ramach porównania z koszykiem technologii. Dodatkowo badanie zostało opisane w ramach uzupełnienia analiz względem minimalnych wymagań w kontekście porównania z TEK (rozdział 4 na str. 53-64).</p> <p>Badanie Costa 2024 zostało pierwotnie wykluczone ze względu na brak spełnienia warunku objęcia min. 90% populacji europejskiej (a nie jak wskazano w AWA odsetka chorych z populacji kaukaskiej). Warunek został nałożony w związku z brakiem standardów terapeutycznych w tak odległych liniach i znacznymi różnicami w dostępie do leków na świecie, m.in. dużo szybsza rejestracja leków w FDA, niż EMA. Należy wskazać, że pomimo oceny przez analityków AOTMiT badania Costa 2024 wskazano, że zidentyfikowane ograniczenia i niepewności uniemożliwiają wiarygodne wnioskowanie ze względu na metodykę badania (str. 50 AWA).</p>
str. 74 i 84	<p>Doprecyzowanie źródeł danych.</p> <p>W analizie wpływu na budżet oraz analizie ekonomicznej korzystano z:</p> <p>Uchwała Rady NFZ Nr 24/2023/IV (do szacowania kosztów) a w przypadku liczebności DARA wykorzystano poza Uchwałą Rady NFZ Nr 24/2023/IV (liczba osób leczonych DARA w 2023 r.) również Uchwałą Nr 19/2022/IV i Uchwałą Nr 26/2021/IV (w celu prognozy wzrostu w kolejnym roku);</p> <p>Zarządzenia Prezesa NFZ: nr 10/2024/DGL (koszt talidomidu), nr 7/2024/DGL (koszty w programie lekowym – podania leków i monitorowania), nr 10/2024/DGL (dotyczy chemioterapii - koszty monitorowania i podania leków nie z programu lekowego wchodzących w skład koszyka terapii), nr 57/2023/DSOZ (wycena wizyty specjalistycznej 1-go typu w przypadku leczenia zdarzeń niepożądanych stopnia 1 lub 2)</p>

	<p>Komunikaty DGL sprzedaż: Raport refundacyjny za styczeń 2024 r. z 03-04-2024 (https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8582.html) oraz Raport refundacyjny za 2023 rok z 07-06-2024 (https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8623.html) w przypadku leków z katalogu B (dla spójności z okresem dostępnej Uchwały Rady NFZ – dla leków z katalogu B brak jest danych na temat liczby sprzedanych opak. w Komunikatach DGL, stąd w tym przypadku uzupełniano dane z Komunikatów o dane z Uchwał);</p> <p>Komunikat dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do stycznia 2024 r. (https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,8576.html) – uwzględniono średnie ceny ze stycznia 2024 r.</p>
str. 16	<p>Belantamab mafodotin nie jest składową koszyka standardowych terapii.</p> <p>Zwracamy uwagę (podobnie jak w ramach uzupełnienia analiz względem minimalnych wymagań w rozdz. 1), iż belantamab mafodotin nie wchodzi w skład koszyka terapii stosowanych w populacji docelowej dla elranatamabu (chorych z TCE RRMM) w Polsce, który to określono w oparciu o badanie ankietowe wśród ekspertów klinicznych.</p> <p>Belantamab mafodotin jest wymieniony wyłącznie w APD jako ewentualna opcja terapeutyczna w przypadku odnowienia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.</p>
str. 26	<p>Kohorta B nie odpowiada warunkom polskim.</p> <p>W kohorcie B pacjenci byli leczeni koniugatem przeciwciało-lek skierowanym na BCMA (ADC) lub terapią CAR-T. Należy zauważyć, że kohorta B nie odpowiada polskim warunkom ponieważ wymienione powyżej terapie ukierunkowane na antygen BCMA nie są refundowane. Wyniki dla kohorty B odnaleziono jedynie w raporcie EMA (ale już w ChPL podano wyniki tylko dla kluczowej kohorty A) oraz w publikacji Mohty 2024 (dotyczącej oceny PRO), ale w związku z powyższym nie analizowano ich w raporcie.</p>

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

2) Uwagi do analiz wnioskodawcy

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.

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;
- 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 skutkował 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.