

**Formularz zgłaszania uwag do  
analiz weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  
i analiz wnioskodawcy<sup>1</sup>**

<b>Formularz zgłaszania uwag do analiz weryfikacyjnej AOTMiT:</b>	
<b>Numer:</b>	WS.423.4.2024
<b>Tytuł:</b>	<p>Wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• Voxzogo, Vosoritidum, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 0,4 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,5 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462890,</li><li>• Voxzogo, Vosoritidum, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 0,56 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,7 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462906,</li><li>• Voxzogo, Vosoritidum, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1,2 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,6 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462913,</li></ul> <p>w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z achondroplazją (ICD-10: Q77.4)” - zlecenie nr 187/2024 w BIP Agencji.</p>

*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>.**

<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. 2024 poz. 146)

1. **Część I – Deklaracja o Powiązaniach Branżowych (DPB)<sup>3</sup>** – do wypełnienia w przypadku uwag do analizy weryfikacyjnej

## **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:

Michał Jachimowicz, [REDACTED]

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

NIE POSIADAM

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

WSZYSCY NIE ŻYJĄ

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[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. 2024 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.

[Redacted area]

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.

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

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Nie rozumiem, jaki związek ze złożeniem przeze mnie niniejszych uwag ma fakt, że członkowie mojej rodziny pracują w firmach doradczych w obszarze refundacji leków.

15.11.2024, Warszawa

(data i miejscowość złożenia deklaracji)

(podpis osoby składającej deklarację)

## 2. Część II - Uwagi

### 1. Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
str. 30 oraz 36, rozdział 4.1.3	<p><u>Treść AWA:</u> <i>W opinii analityków Agencji włączone do przeglądu badania RWE nie spełniają kryteriów włączenia (brak publikacji pełnotekstowej).</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Zgodnie z kryterium PICOS dotyczącego metodyki, które zostało zawarte w Analizie Klinicznej, do przeglądu włączano „[...] abstrakty konferencyjne do badań pierwotnych, zawierające wyniki dla najdłuższego dostępnego okresu obserwacji”. W związku z powyższym, zgodnie z opinią analityków, badania opublikowane jako materiały konferencyjne <i>Kunzel 2023_ab konf</i>, <i>Cormier-Daire 2023_poster</i>, <i>Allegri 2024_ab konf</i> spełniły kryteria PICOS i zasadne jest ich włączenie do Analizy Klinicznej.</p> <p>Dodatkowo, warto zaznaczyć, że ze względu na niską częstość choroby jaką jest achondroplazja oraz brak innych dowodów klinicznych pochodzących z rzeczywistej praktyki klinicznej, zasadne jest uwzględnienie materiałów konferencyjnych z badań RWE (mimo, iż ich wyniki należy traktować z ostrożnością, ze względu na brak możliwości przeprowadzenia dokładnej oceny jakości badań). Co istotne, wyniki z przedstawionych badań RWE są spójne z wynikami z badań eksperymentalnych i potwierdzają skuteczność WOS w zwiększeniu tempa wzrostu, co dostarcza ważnych informacji dotyczących praktycznej skuteczności wnioskowanej interwencji.</p> <p>Dodatkowo, zidentyfikowane w wyniku aktualizacji przeglądu systematycznego badanie RWE opublikowane w abstrakcie konferencyjnym <i>Derocher 2024_ab konf</i> (które nie zostało włączone do analizy, ze względu na brak spełnienia kryteriów włączenia określonych w PICOS) dostarczyło istotnych danych dotyczących skuteczności WOS w zakresie wydłużenia kości, a także poprawy ich wytrzymałości. W badaniu wykazano, że WOS przyczynił się do wydłużenia kości śródreżca oraz zwiększenia powierzchni korowej, co jest związane ze wzrostem wytrzymałości kości. Szczegółowe informacje zawarto w dyskusji w rozdziale 16. Analizy Klinicznej.</p>
str. 36 rozdział 4.1.3.2. oraz str. 57 rozdział 4.3	<p><u>Treść AWA:</u> <i>W AKL Wnioskodawcy wskazano na brak danych dotyczących utraty pacjentów z faz przedłużonych (111-208, 111-302); [redacted]</i></p> <p><i>[redacted] Powyższe przekłada się na brak możliwości jednoznacznego wnioskowania o skuteczności długoterminowej wosorytydu.</i></p> <p>oraz</p> <p><i>W obu fazach przedłużonych badań odnotowano wysoką utratę pacjentów z badań oraz niewielką liczbę/brak wyników pacjentów umożliwiających ocenę parametrów wzrostu. Autorzy wskazują na problemy z regularnymi, standardowymi wizytami monitorującymi w okresie pandemii COVID-19, co mogło mieć wpływ na dostępność wyników. Natomiast analiza pacjentów, którzy dyskontynuowali leczenie/udział w badaniu [redacted]</i></p> <p>[redacted]</p> <p>[redacted]</p> <p>[redacted]</p> <p><u>Odpowiedź:</u> Analitycy zgadzają się z uwagą dotyczącą ograniczonej liczebności chorych badanych w najdłuższych dostępnych okresach obserwacji (co zostało zawarte w ograniczeniach do Analizy Klinicznej w rozdziale 14.). Należy jednak zaznaczyć, że przyczyną niewielkiej liczby chorych w najdłuższych dostępnych okresach obserwacji nie była wysoka utrata chorych z badań. [redacted]</p> <p>[redacted] Dodatkowo należy zaznaczyć, że chorzy, którzy w randomizowanym okresie badania przyjmowali placebo byli krócej leczeni wosorytydem.</p> <p>[redacted]</p>

	<p>[Redacted text]</p> <p>Dodatkowo, należy podkreślić, że ze względu na fakt, że achondroplazja jest chorobą rzadką, nie należy oczekiwać, że liczebność grup w badaniach klinicznych będzie wysoka.</p>
str. 36 rozdział 4.1.3.2. oraz str. 58 rozdział 4.3	<p><u>Treść AWA:</u> [Redacted text] oraz <i>Należy jednocześnie podkreślić zasadnicze ograniczenia w możliwości jednoznacznego wnioskowania (fazy przedłużone badań – 111-208 oraz 111-302) nt. długoterminowej skuteczności oraz utrzymywaniu się korzystnego efektu wosorytydu w czasie ze względu na bardzo małą liczebność/brak pacjentów z dostępnymi wynikami ocenianych parametrów (dostępne pojedyncze wyniki), [Redacted text]</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Długoterminowa skuteczność WOS w Analizie Klinicznej z badań 111-208 oraz 111-302 została przedstawiona [Redacted text] na podstawie opublikowanych materiałów konferencyjnych – 111-302 (Savarirayan 2024)_ab konf, 111-302 (Savarirayan2024)_poster, 111-208 (Savarirayan 2024b)_poster (rozdziały 8.2 oraz 8.3 AKL). Warto podkreślić, że w rozdziale 8.2 AKL przedstawiono długoterminową skuteczność WOS na podstawie opublikowanej analizy porównawczej obejmującej co najmniej 3-letni okres obserwacji chorych leczonych WOS w porównaniu z dopasowaną grupą nieleczonych chorych z badania CLARITY. Co więcej, również w publikacji głównej do badania 111-302 (Savarirayan 2021) przedstawiono długoterminowe wyniki skuteczności WOS (okres obserwacji: 104. tyg.) i zestawiono je z wynikami dla chorych przyjmujących PLC. Dodatkowo, w opublikowanym materiale konferencyjnym Savarirayan 2024_poster przedstawiono również wyniki dla okresu obserwacji wynoszącego 4 lata. Z kolei w rozdziale 8.3 AKL długoterminowa skuteczność WOS została przedstawiona również w oparciu opublikowane dane z posteru konferencyjnego, w którym uwzględniono wyniki obejmujące 1,2,3 i 4-letni okres obserwacji. [Redacted text]</p> <p>Podsumowując, przedstawione w rozdziałach 8.2 i 8.3 analizy porównawcze na podstawie danych długoterminowych nie pochodzą wyłącznie z materiałów poufnych otrzymanych od Wnioskodawcy, ale są dostępne również w domenie publicznej. Należy podkreślić, że przeprowadzone analizy podłużne i przekrojowe pozwalają jednoznacznie wnioskować o wysokiej skuteczności WOS również w długim okresie obserwacji.</p>
str. 35, rozdział 4.1.4.	<p><u>Treść AWA:</u> <i>Okres obserwacji w obu RCTs (52 tyg.) jest niewystarczający do wnioskowania o długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwie terapii wosorytydem; ponadto, przyjęty okres obserwacji badania może być niewystarczający do zaobserwowania różnic w zakresie niektórych punktów końcowych (np. proporcji górnego do dolnego segmentu ciała).</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Zgodnie z ustalonym przez Ministra Zdrowia Programem Lekowym „LECZENIE PACJENTÓW Z ACHONDROPLAZJĄ” (ICD-10: Q77.4), pierwsza ocena skuteczności leczenia WOS następuje w 12 mies. leczenia w ramach programu, co jest zgodne z oceną skuteczności w badaniach klinicznych w 52 tyg. Zgodnie z zapisami programu, kolejne weryfikacje</p>

	<p>skuteczności leczenia następują co 6 mies. co również jest zgodne z oceną skuteczności przedstawioną w AKL na podstawie przedłużeń badań 111-205, 111-208, 111-302.</p> <p>[REDAKTOWANE], a także w przedłużeniach badań 111-206 oraz 111-302 (szczegółowy opis dotyczący danych długoterminowych zawarto również w odpowiedziach na uwagę Agencji odnośnie danych długoterminowych z badań 111-208 i 111-302 [REDAKTOWANE]).</p> <p>Należy również wziąć pod uwagę, że achondroplazja należy do chorób rzadkich oraz wosorytyd stanowi obecnie jedyną zarejestrowaną i skuteczną metodę leczenia ukierunkowaną na przyczynę choroby. Dlatego, długoterminowe celowe niepodawanie leczenia (dodatkowo skutecznego) byłoby wysoce nieetyczne. Należy również podkreślić, że biorąc pod uwagę charakter choroby i fakt, że leczenie powinno zostać wdrożone na jak najwcześniejszym etapie (ze względu na ograniczone „okno” wzrostu w dzieciństwie i szczególnie szybkie narastanie deficytów wzrostu u dzieci z achondroplazją w pierwszych kilku latach życia) oraz może być podawanie jedynie do momentu zamknięcia nasad kości długich, przeprowadzenie badania RCT w dłuższym niż 52 tyg. okresie obserwacji byłoby całkowicie nieetyczne.</p> <p>Dodatkowo, należy wziąć pod uwagę, że w Analizie klinicznej została uwzględniona również analiza porównawcza wyników dla chorych leczonych w ramach programu klinicznego dla WOS i chorych nieleczonych (z badania CLARITY), która potwierdziła trwałość efektu terapeutycznego WOS. Dane te wskazują jednoznacznie, że w porównaniu z naturalnym przebiegiem choroby, WOS wykazuje skuteczność w zakresie poprawy wzrostu chorych.</p>
<p>Rozdział 5.3.1. 5. akapit oraz str. 35, rozdział 4.1.4. oraz str. 45 rozdział 4.2.1.1</p>	<p><u>Treść AWA:</u> <i>Wyniki dostępnych prób klinicznych nie potwierdzają również znamienego wpływu WOS na jakość życia pacjentów.</i> oraz <i>W związku ze skutecznością terapii WOS w zakresie poprawy wzrostu chorych można spodziewać się pozytywnego wpływu badanej interwencji na jakość życia chorych. Dane z fazy przedłużonej badania 111-302 dla 3-letniego okresu obserwacji mogą sugerować korzyści w zakresie poprawy jakości życia (zmiana wyniku wg kwestionariuszu QoLISSY względem wartości początkowych) w subpopulacji pacjentów uzyskujących poprawę w zakresie parametru wzrostu Z-score względem chorych ogółem. Dostępne dane obarczone są niepewnością – wskazuje się na potrzebę dalszych badań dla potwierdzenia efektów długoterminowych leczenia.</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Cytowana argumentacja „wyniki dostępnych prób klinicznych nie potwierdzają znamienego wpływu WOS na jakość życia pacjentów” nie jest prawdziwa i opiera się wyłącznie na braku dostępności badań, w których chorzy na achondroplazję, stosujący wosorytyd, wypełnialiby kwestionariusze EQ-5D (modelowanie jakości życia w Analizie ekonomicznej opiera się na danych EQ-5D). Jednakże należy zaznaczyć, że odnalezione dane EQ-5D dotyczące chorych na achondroplazję (badanie LIAISE) są słabo skorelowane ze standardowym wynikiem wzrostu, co rzutuje na niekorzystnych wynikach dotyczących efektów klinicznych, tj. związanych z osiąganiem wyższego wzrostu, przy zastosowaniu zależności QoL(Z-score) = EQ-5D(Z-score), zatem kwestionariusze te nie są najlepszym narzędziem w kontekście oceny „wpływu na jakość życia pacjentów”. W kontekście jakości życia mierzonego za pomocą innych kwestionariuszy, m.in. QoLISSY i PedsQL, wykazano dużo mocniejsze korelacje ze standardowym wynikiem wzrostu. Kwestionariusze te zostały opracowane właśnie w kontekście młodszych chorych o zmniejszonym wzroście, czym zyskują przewagę w badaniach klinicznych nad bardzo ogólnym, lecz uniwersalnym, narzędziem jakim jest EQ-5D. Zatem ograniczanie się jedynie do kwestionariuszy EQ-5D nie będzie oddawać w pełni oceny jakości życia chorych na tak wielowymiarową i specyficzną chorobę jak achondroplazja. Ponadto, w Analizie problemu decyzyjnego oraz Analizie ekonomicznej przedstawiono wyniki [REDAKTOWANE] oraz paneli eksperckich potwierdzających pozytywny wpływ wosorytydu na jakość życia chorych na achondroplazję.</p> <p>Omówienie wpływu WOS na jakość życia chorych z achondroplazją zawarto również w dyskusji w rozdziale 16. Analizy Klinicznej:</p> <p>„W badaniach 111-206 oraz 111-301 wpływ WOS na jakość życia chorych oceniono za pomocą kwestionariuszy ITQoL, WeeFIM II, BSID-III, PedsQL oraz QoLISSY. W 52. tyg. leczenia nie zaobserwowano istotnych klinicznie różnic między grupą WOS i PLC. Jednak zgodnie z danymi długoterminowymi (do 3 lat leczenia), wosorytyd poprawia HRQoL u dzieci z ACH, szczególnie w zakresie wyników w domenie fizycznej [111-302 (Savarirayan 2024_a)_poster]. Wpływ leczenia WOS na HRQoL może być jednak niedoszacowany, ponieważ chorzy na ACH rozwijają mechanizmy adaptacyjne związane z radzeniem sobie w codziennym życiu, w związku z czym mogą bardziej pozytywnie postrzegać swój stan zdrowia. Zjawisko to</p>



	<p>określane jest jako „paradoks niepełnosprawności” i polega na niedocenianiu przez chorych wpływu achondroplazji na codziennie funkcjonowanie, ponieważ nigdy nie doświadczyli życia bez choroby [Albrecht 1999, Constantinides 2022]. Należy także zaznaczyć, że w badaniach klinicznych wykazano korelację między poprawą wzrostu chorych na ACH a poprawą HRQoL [Irving 2021, 111-302 (Savarirayan 2024_a)_poster]. Długoterminowe dane, tj. uzyskane po 3 latach leczenia WOS, wskazują, że u chorych, którzy osiągnęli zmianę <math>\geq 1</math> Z-score wzrostu do wieku, średnia zmiana wyniku w domenie fizycznej jakości życia kwestionariusza QoLISSY była wyższa w porównaniu z chorymi bez zmiany <math>\geq 1</math> Z-score. Dodatkowo WOS istotnie klinicznie poprawia główne wskaźniki wzrostu, dlatego można wnioskować o pozytywnym wpływie badanej interwencji na jakość życia chorych. Należy zaznaczyć, że potencjalny pozytywny wpływ leczenia WOS na jakość życia chorych na ACH podkreślają [redacted] międzynarodowi eksperci kliniczni w panelu Delphi opublikowanym w 2022 roku. Zgodnie z ich opinią dzięki zastosowaniu leczenia przyczynowego możliwe jest uniknięcie bolesnego zabiegu operacyjnego rozciągania kości, zmniejszenie tendencji do obciążenia kończyn dolnych, skutkujących koniecznością noszenia butów ortopedycznych, czy redukcja bólów kostno-stawowych [redacted] Savarirayan 2022].”</p>
Rozdział 5.3.1. 4. akapit oraz str. 35, rozdział 4.1.4.	<p><u>Treść AWA:</u> W modelu uwzględniono kilka komplikacji/powikłań występujących u osób z achondroplazją, których częstość skorelowano ze standardowym wynikiem wzrostu. Wśród analizowanych komplikacji, których częstość w przypadku achondroplazji istotnie przewyższa częstość w populacji ogólnej, uwzględniono: zwężenie otworu wielkiego, wodogłowię (wymagające implementacji bocznika), bezdech senny, stenozę kanału kręgowego, kifozę, zniekształcenie szpotawe stawu kolanowego, choroby sercowo-naczyniowe, zapalenie ucha środkowego oraz wady zgryzu. Należy mieć na uwadze, że nie zidentyfikowano danych naukowych potwierdzających ww. korelację, co niewątpliwie stanowi źródło niepewności. [...] należy podkreślić brak dowodów naukowych w zakresie wpływu WOS na redukcję częstości występowania komplikacji medycznych ACH, w tym tych, których częstość w przypadku achondroplazji istotnie przewyższa częstość w populacji ogólnej.</p> <p><u>Odpowiedź:</u> Wiele konsekwencji achondroplazji dot. ograniczonego wzrostu endochondralnego ujawnia się dopiero w wieku dorosłym, a nawet kilkadziesiąt lat po tym, jak minęła możliwość interweniowania na zaburzony wzrost chorego. Ze względu na rzadkość występowania choroby i związane z nią ramy czasowe, trudno jest uzyskać dowody na skuteczność wosorytydu w łagodzeniu powikłań wynikających z ograniczonego wzrostu endochondralnego w ACH.</p> <p>Jednakże w badaniach klinicznych dotyczących wosorytydu udowodniono istotny i utrzymujący się pozytywny wpływ terapii wosorytydem na wzrost/standardowy wynik wzrostu chorego (m.in. badania 111-301, 111-206, 111-208), przy czym również wykazano negatywną korelację wzrostu z występowaniem wymienionych komplikacji (badanie LIAISE<sup>4</sup>). Z powyższych dwóch zależności wynika uzyskana w analizie zależność zmniejszenia częstości komplikacji w przypadku stosowania terapii wosorytydem.</p> <p>Ponadto wstępne wyniki MRI u pacjentów w wieku poniżej 5 lat w RCT II fazy wykazują 44% wzrost w stosunku do wartości wyjściowej w obszarze otworu wielkiego u niemowląt leczonych produktem VOXZOGO<sup>®</sup> w 52. tygodniu, w porównaniu ze wzrostem 25% u niemowląt otrzymujących placebo [Savarirayan 2024] co potwierdza przyjęte założenie w kontekście ryzyka zwiększenia otworu wielkiego.</p> <p>Wpływ leczenia wosorytydem na częstość występowania zwężenia otworu wielkiego u pacjentów z ACH w wieku poniżej 1 roku życia jest dalej badana w ramach badania klinicznego 111-209.</p> <p>W kontekście danych naukowych spoza badań klinicznych należy uwzględnić [redacted] panele dyskusyjne (m.in. Delphi). Zdania klinicystów z Polski oraz z innych krajów są spójne co do tego, że wosorytyd ma pozytywny wpływ na zmniejszenie częstości występowania komplikacji takich jak stenoza kanału kręgowego, kifoza, obturacyjny bezdech senny i zwężenie otworu wielkiego. Ekspertki podkreślają również, że zmniejszenie częstości komplikacji jest tym wyraźniejsze im wcześniejsze jest rozpoczęcie terapii. Ponieważ wosorytyd poprawia wzrost/standardowy wynik wzrostu chorego, przy zachowaniu znacznie lepszej proporcjonalności wzrostu kości chorego (w porównaniu z operacją wydłużenia kończyn, która wydłuża wyłącznie wydłużane kończyny), założenie o korelacji między standardowym wynikiem wzrostu a częstością wymienionych komplikacji jest tym bardziej uzasadnione.</p>



	<p>Założenie to jest natomiast ograniczone w kontekście chorych nieleczonej wodrotydem, korzystających z operacji wydłużania kończyn, która to operacja nie musi redukować ryzyka występowania wybranych komplikacji, mimo polepszenia wzrostu/standardowego wzrostu chorego. W takim kontekście należy zgodzić się z uwagami Agencji. To ograniczenie jest natomiast konserwatywne w kontekście analizowanego porównania WOS vs BSC.</p> <p>Warto również zaznaczyć, że omówienie wpływu WOS na redukcję częstości występowania komplikacji medycznych ACH zawarto w dyskusji w rozdziale 16. Analizy Klinicznej:</p> <p><i>„Obecnie dowody kliniczne potwierdzające korzystny wpływ WOS na przebieg chorób współistniejących i powikłań, konieczność zastosowania interwencji chirurgicznych czy leczenia objawowego są ograniczone. Warto jednak podkreślić, że analiza MRI przeprowadzona w badaniu 111-206 w celu oceny wpływu WOS na morfologię mózgu oraz czaszki wykazała ok. 44% wzrost powierzchni otworu wielkiego względem wartości początkowych u niemowląt leczonych WOS w porównaniu ze wzrostem o 25% u niemowląt przyjmujących PLC. Wyniki te mogą mieć kluczowe znaczenie w zakresie zgonów niemowląt spowodowanych zwężeniem otworu wielkiego i uciskiem szyjno-rdzeniowym. Szacuje się, że niemowlęta z achondroplazją i zwężeniem otworu wielkiego mają 3-6 razy większe ryzyko zgonu w porównaniu ze zdrowymi dziećmi o średnim wzroście, a około 1/4 wszystkich chorych z ACH wymaga przeprowadzenia operacji z powodu stenozy kręgosłupa [Hecht 1987, Hunter 1998]. Wpływ WOS na niemowlęta z ACH z objawowym uciskiem szyjno-rdzeniowym jest obecnie badany w trwającym badaniu 111-209. Na uwagę zasługuje także fakt, że aż ≥75% ekspertów panelu Delphi uważa, że WOS ma prawdopodobnie pozytywny wpływ na częstość występowania objawowego zwężenia kręgosłupa, kifozy, obturacyjnego bezdechu sennego i zwężenia otworu wielkiego przy wczesnym rozpoczęciu leczenia [Savarirayan 2022b].</i></p> <p><i>Skuteczność WOS w zakresie redukcji powikłań może być szczególnie istotna z uwagi na fakt, że u około 10% chorych niemowląt z achondroplazją występuje ciężkie zwężenie otworu wielkiego, wymagające operacji dekompresji [Pauli 2019]. Zgodne z opiniami ekspertów zmiany w zakresie morfologii czaszki i mózgu są niezwykle istotne dla chorych, gdyż mogą mieć wpływ na poprawę wentylacji, a także przyczyniać się do zmniejszenia ryzyka nawracających zakazeń dróg oddechowych. Eksperti zaznaczają, że u chorych z achondroplazją należy także zwrócić uwagę na inne niż związane ze wzrostem korzyści zdrowotne z leczenia WOS, wynikające z redukcji liczby skomplikowanych i ryzykownych interwencji chirurgicznych oraz związanego z nimi bólu, który znacznie pogarsza jakość życia chorych [Wrobel 2024].”</i></p>
str. 36, rozdział 4.1.4	<p><u>Treść AWA:</u> <i>Trudności w dokonaniu powtarzalnego pomiaru wzrostu/oceny długości ciała w populacji młodszych pacjentów (&lt;6 mies. życia), mogących wpływać na wyniki w tej grupie pacjentów.</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Warto zaznaczyć, że produkt leczniczy VOXZOGO® zarejestrowany jest od 4 miesiąca życia (co jest zgodne z zapisami ustalonego przez Ministra Zdrowia Programu Lekowego „LECZENIE PACJENTÓW Z ACHONDROPLAZJĄ” (ICD-10: Q77.4)). Co istotne, w przebiegu achondroplazji niezwykle istotne jest podanie choremu leku na jak najwcześniejszym etapie życia, aby uniknąć znacznego obciążenia chorobą związaną m.in. z licznymi operacjami chirurgicznymi i powikłaniami choroby.</p> <p>W badaniach klinicznych dla WOS raportowano ogólnie korzystny wpływ leczenia badanej interwencji w najmłodszej grupie wiekowej. Zatem pomimo trudności jakie może sprawiać ocena parametrów w najmłodszej grupie chorych, skuteczność leczenia WOS w tej grupie wskazuje na silną potrzebę ich leczenia (co znajduje odzwierciedlenie w brzmieniu zarejestrowanego przez EMA wskazania). Dodatkowo, WOS cechuje się akceptowalnym profilem bezpieczeństwa.</p> <p>W związku z powyższym, ograniczenie zidentyfikowane przez analityków Agencji nie ma istotnego wpływu na wnioskowanie oraz nie ma podstaw merytorycznych do tego, aby ograniczenie to mogło wpływać negatywnie na postrzeganie skuteczności analizowanej interwencji w omawianej grupie wiekowej.</p>
str. 36, rozdział 4.1.4	<p><u>Treść AWA:</u> <i>W AKL Wnioskodawcy brak szczegółowego opisu metodyki oraz wyników włączonego do analizy badania wtórnego (Murton 2023).</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u></p>

	<p>Szczegółowy opis metodyki oraz wyników włączonego do analizy badania wtórnego (<i>Murton 2023</i>) został przedstawiony w rozdziale 3.6 oraz w załącznikach 17.8., 17.9 AKL (Tabela 102. oraz 103.)</p>
<p>str. 57, rozdział 4.3</p>	<p><u>Treść AWA:</u> <i>Kryteria wykluczenia w obu RCTs obejmują szereg schorzeń (m.in. cukrzyca insulinozależna, zaburzenia endokrynologiczne, sercowo-naczyniowe, autoimmunologiczne choroby zapalne, niewydolność nerek, niedobór wit. D) wpływających na ostateczną charakterystykę populacji włączonej do badań pod kątem obciążenia chorobami współistniejącymi, co ogranicza możliwość ekstrapolacji wyników z badań na populację ogólną pacjentów pediatrycznych z achondroplazją.</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Należy zaznaczyć, że kryteria wykluczenia z badań RCTs są zgodne z zapisem ustalonego przez Ministra Zdrowia Programu Lekowego „LECZENIE PACJENTÓW Z ACHONDROPLAZJĄ” (ICD-10: Q77.4), który przewiduje włączenie do programu chorych z adekwatną wydolnością narządową określoną na podstawie wyników badań laboratoryjnych umożliwiająca w opinii lekarza prowadzącego bezpieczne rozpoczęcie terapii. Dodatkowo, należy zaznaczyć, że Analitycy Agencji nie zgłosili uwag do następujących założeń "Podczas szacowania populacji przyjęto założenie, że kryterium dotyczące adekwatnej wydolności narządowej nie wpłynie na wielkość populacji chorych, którzy rozpoczęliby terapię wosorytydem w przypadku jego refundacji. W uzasadnieniu wskazano, że pomimo potencjalnej dyskwalifikacji części populacji docelowej ze względu na ww. kryterium, należy oczekiwać, że będzie ona skutkować jedynie opóźnieniem momentu rozpoczęcia leczenia i nie należy spodziewać się przypadków chorych na achondroplazję, którzy przez utrzymującą się niewydolność narządową przez cały okres dorastania nie rozpoczną terapii wosorytydem."</p>
<p>Rozdział 5.3.1. 4. akapit</p>	<p><u>Treść AWA:</u> <i>W każdym cyklu przypisano chorym prawdopodobieństwo wystąpienia komplikacji, które poza naliczonymi kosztami powiązано również z okresowym obniżeniem jakości życia. Zastosowano uproszczenie polegające na tym, że konsekwencje zdarzeń takich jak komplikacje lub operacja wydłużenia kończyn uwzględniono wyłącznie w cyklu, w którym wystąpiły – nie modelowano oddzielnie długofalowych konsekwencji związanych z wystąpieniem tych zdarzeń, lecz wszystkie konsekwencje skumulowano w jednym cyklu.</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Prawdą jest, że rozłożenie (skumulowanych w jednym cyklu) kosztów lub obniżonej jakości życia na więcej niż jeden cykl mogłoby nieco lepiej modelować całkowite wyniki w horyzoncie czasowym ze względu na wpływ dyskontowania oraz wpływ potencjalnego zgonu pacjenta w niedalekiej przyszłości po wystąpieniu danej komplikacji lub operacji wydłużenia kończyn. Jednakże na korzyść przyjętego uproszczenia działa:  <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ wystarczająco duża długość cyklu (1 rok), pozwalająca najczęściej uchwycić wszystkie koszty i konsekwencje związane z zdarzeniem,</li> <li>⊗ niezbyt duża śmiertelność chorych, po okresie niemowlęcym tylko nieco większa niż śmiertelność w populacji ogólnej.</li> </ul> Zatem potencjalne „przesunięcie” kosztów lub efektów zdrowotnych na późniejsze cykle horyzontu czasowego powinno mieć marginalny wpływ na wyniki analizy, tj. mniejszy wpływ niż niepewności związane z przyjętymi wartościami parametrów w modelu.  Ponadto, w kontekście przytoczonego fragmentu, założenie <i>braku długofalowych konsekwencji związanych z operacją wydłużenia kończyn</i> nie jest prawdą, gdyż w <i>Analizie ekonomicznej</i> założono wpływ operacji wydłużenia kończyn na wzrost, a więc również na standardowy wynik wzrostu, a tym samym na naliczanie dodatkowych efektów zdrowotnych we wszystkich cyklach po takiej operacji, zgodnie z przyjętą zależnością QoL(Z-score).</p>
<p>Rozdział 5.3.2. 4. akapit</p>	<p><u>Treść AWA:</u> <i>w kontekście oceny jakości życia należy zwrócić uwagę na kwestię jej pomiaru w populacji pediatrycznej – uwzględniono dane z badania przeprowadzonego z udziałem dorosłych pacjentów, gdzie średnia wieku wynosiła 49 lat (Christensen 2007). Należy zauważyć, że związek między wzrostem a jakością życia oparty na populacji dorosłych może nie być analogiczny u dzieci. Ponadto, w analizie nie przeprowadzono dyskusji tej kwestii.</i></p> <p><u>Odpowiedź:</u> Ograniczenie to jest jak najbardziej słuszne, natomiast warto zwrócić uwagę na to, że horyzont czasowy analizy obejmuje całe życie chorego. W przypadku średniej długości życia [REDACTED]</p>

	<p>Ograniczenie wiążące się z wykorzystaniem danych dotyczących populacji dorosłych zostało wspomniane w rozdziale „Ograniczenia” <i>Analizy ekonomicznej</i>: „W kontekście modelowania jakości życia chorych ograniczenie wiąże się zatem z założeniem, że istnieje związek przyczynowy między wzrostem lub standardowym wynikiem wzrostu a jakością życia EQ-5D oraz że dane Christensen 2007, raportujące zależność jakości życia od standardowego wyniku wzrostu populacji ogólnej <u>dorosłych</u> obywateli Wielkiej Brytanii, mogą być wykorzystane w przypadku modelowanych chorych na achondroplazję.”</p> <p>Ponadto, w ramach walidacji konwergencji <i>Analizy ekonomicznej</i> przytoczono m.in. analizy Christensen 2010, Takeda 2010, które również dotyczą populacji (wyjściowo) pediatrycznej, a w których również wykorzystano dane z badania Christensen 2007, co może wskazywać na to, że mimo przytoczonych ograniczeń, przyjęte modelowanie jest słuszne.</p>
<p>Rozdział 5.3.2. 4. akapit</p>	<p><u>Treść AWA:</u> badanie Christensen 2007 obejmuje populację ogólną a nie osoby z achondroplazją – kwestionowane może być zatem przenoszenie danych dot. jakości życia z populacji ogólnej na pacjentów z achondroplazją o analogicznym wzroście, którzy oprócz innych objawów choroby mają dodatkowo krótsze ramiona i dysproporcjonalność, co najpewniej negatywnie wpływa na ich jakość życia.</p> <p><u>Odpowiedź:</u> Wspomniane ograniczenie jest co najwyżej konserwatywne, ponieważ rozwój chorych stosujących WOS jest bliższy rozwojowi populacji ogólnej w porównaniu z rozwojem chorych stosujących BSC. Potencjalna „poprawka na dodatkowy negatywny wpływ na jakość życia” oznaczałaby zatem pogorszenie jakości życia leczonych wosorytydem i jeszcze większe pogorszenie jakości życia leczonych BSC. W konsekwencji taka poprawka powinna skutkować jeszcze większą różnicą w całkowitych inkrementalnych QALY.</p> <p>Ponadto, w ramach walidacji konwergencji <i>Analizy ekonomicznej</i> przytoczono m.in. analizy Christensen 2010, Takeda 2010, które również dotyczą schorzeń związanych z niskorosłością, a w których również wykorzystano dane z badania Christensen 2007, jako jedyne dostępne źródło danych, co może wskazywać na to, że mimo przytoczonych ograniczeń, przyjęte modelowanie jest słuszne.</p>
<p>Rozdział 5.3.3. Sekcja: Walidacja konwergencji</p>	<p><u>Uwaga:</u> W opinii analityków Agencji dostępne są w domenie publicznej raporty z oceny VOXZOGO (np. przeprowadzone przez FINOSE czy NCPE), pozwalające na dyskusję przyjętych w AE wnioskodawcy założeń.</p> <p><u>Odpowiedź:</u> Po zapoznaniu się z przedstawioną dokumentacją nie zidentyfikowano dodatkowych (poza opisanymi w kontekście uwzględnionych 4 analiz) różnic między <i>Analizą ekonomiczną</i> a analizą FINOSE lub NCPE. Przytoczone analizy potwierdzają natomiast m.in.:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ konstrukcję modelu,</li> <li>⊗ wybór komparatora,</li> <li>⊗ dawkowanie wosorytydu,</li> <li>⊗ zasadność dożywotniego horyzontu czasowego,</li> <li>⊗ dobór komplikacji istotnych w kontekście achondroplazji,</li> <li>⊗ uwzględnienie operacji wydłużenia kończyn,</li> <li>⊗ uwzględnienie jakości życia opiekuna/ów chorego,</li> <li>⊗ modelowanie jakości życia na podstawie badania Christensen 2007</li> </ul>
<p>Rozdział 6.3. Tabela 27. Wiersz 7.</p>	<p><u>Uwaga:</u> [Redacted]</p> <p><u>Odpowiedź:</u> [Redacted]</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.

#### a. 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.

## **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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.);
- 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.);
- 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.);
- 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.);
- 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 międzynarodowe