

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	DAS.423.1.3.2025
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Pemazyre (pemigatynib) we wskazaniu: „Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C22.0) lub raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)”. Analiza weryfikacyjna

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 AOTMiT².

1. Część I -Deklaracja o Powiązaniach Branżowych (DPB)³ – do wypełnienia w przypadku uwag do analizy 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 2023 r., poz. 826 z późn. zm.)

² 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:

MICHAŁ ADRIAN OPUCHLIK ; [REDACTED]

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[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:

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

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;

X 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;
- X** 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.

Jestem pełnomocnikiem Podmiotu Odpowiedzialnego w tym postępowaniu.

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

.....
.....

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

.....

(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
Rozdział 4.1.1.2 (strona 22)	Uwaga: „Jednoramienne badanie rejestracyjne FIGHT-202 oraz badania obserwacyjne (RWE Lindley 2024, Ding 2025, Saverno 2025 i łączona analiza badań retrospektywnych Parisi 2024) zostały ocenione w skali IHE, zaprojektowanej do oceny serii przypadków (IHE 2016). Podejście to wydaje się nie być zgodne z obowiązującymi wytycznymi AOTMiT. Zgodnie z ich treścią, preferowanym narzędziem do oceny jakości badań jednoramiennych, w tym rejestracyjnego badania FIGHT-202 oraz ww. RWE Lindley 2024, Ding 2025 i Saverno 2025 jest skala NICE a dla retrospektywnej analizy łączonej Parisi 2024 adekwatna wydaje się skala Newcastle-Ottawa Scale (NOS). Analitycy AOTMiT przeprowadzili szczegółową ocenę uwzględnionych w analizie badań zgodnie z ww. rekomendowanymi narzędziami” Odpowiedź: Badania jednoramienne w ramach raportu klinicznego produktu leczniczego Pemazyre® zostały ocenione wg zalecanej przez NICE skali IHE do oceny badań o tej metodyce. Skala ta została wymieniona jako skala dedykowana do badań bez grupy kontrolnej w wytycznych wydanych w 2024 roku przez NICE, w dokumencie zamieszczonym na stronie https://www.nice.org.uk/process/pmg20 (załącznik H). Wytyczne AOTMiT z 2016 roku odwołują się do skali NICE na podstawie poniższej referencji: Quality assessment for Case series. NICE guidelines (CG3);; http://www.nice.org.uk/guidance/cg3/resources/appendix-4-quality-of-case-series-form2 June 2003. Powyższy link podany w Wytycznych AOTMiT odwołuje do strony zawierającej nieaktualne informacje nt. badań przedoperacyjnych dla zabiegów planowanych (tytuł oryginalny: <i>Preoperative tests for elective surgery, Clinical guideline, Reference number:CG3</i>). Pomimo prób odnalezienia odpowiedniego źródła zalecanej przez AOTMiT skali NICE, nie udało się odnaleźć referencji umożliwiającej cytowanie jej jako właściwe źródło. Zatem aby przeprowadzić właściwą analizę jakości włączonych badań, przeprowadzono szerokie wyszukiwanie na stronie NICE, na podstawie którego odnaleziono wyżej cytowany dokument z 2024 roku. Warto również dodać, iż zastosowana skala IHE jest skalą umożliwiającą szczegółową ocenę badania. Została ponadto opublikowana w publikacjach Guo 2016⁴ oraz IHE 2012⁵ i została określona przez NICE jako preferowana. Ponadto, należy dodać, iż badanie <i>Parisi 2024</i>, jak i pozostałe badania obserwacyjne włączone do Analizy Klinicznej zaklasyfikowano jako badanie jednoramienne. Pomimo, iż badanie to stanowiło analizę łączoną dwóch retrospektywnych badań klinicznych, wszyscy chorzy otrzymywali taką samą interwencję (PEM). Zatem analiza wyników została przeprowadzona w sposób odpowiedni do analizy w badaniu jednoramiennym.

⁴ Guo B., Moga C., Harstall C., Schopflocher D., A principal component analysis is conducted for a case series quality appraisal checklist, Journal of Clinical Epidemiology 2015

⁵ Moga C, Guo B, Schopflocher D, Harstall C. Development of a Quality Appraisal Tool for Case Series Studies Using a Modified Delphi Technique. Edmonton AB: Institute of Health Economics. 2012.

Rozdział 2. (str. 10) oraz Rozdział 5.2.3. (str. 33)	Uwaga: [REDACTED] Odpowiedź: [REDACTED]
Rozdział 2. (str. 10), Rozdział 6.3. (str. 36) oraz Rozdział 6.3.1. (str. 37)	Uwaga: „Jako ograniczenie analizy analitycy wskazali [...] brak wariantu analizy wrażliwości z alternatywnym przejęciem udziału rynku ([REDACTED]) [REDACTED]. Dwie ekspertki kliniczne, od których Agencja uzyskała opinie wskazują, że po refundacji leku Pemazyre schemat FOLFOX, jako standard terapii będzie nadal stosowany przez 20% pacjentów).” „[REDACTED]. Eksperci kliniczni od których Agencja uzyskała opinie wskazują, że FOLFOX, jako standard terapii będzie nadal stosowany przez 20% pacjentów.” „[REDACTED] [REDACTED] Dwie ekspertki kliniczne, od których Agencja uzyskała opinie wskazują, że po refundacji leku Pemazyre schemat FOLFOX, jako standard terapii będzie nadal stosowany przez 20% pacjentów. W analizie wrażliwości wnioskodawca nie przedstawił scenariusza z alternatywnym przejęciem udziału rynku.” Odpowiedź: [REDACTED]
Rozdział 5.2.2. (str. 32-33)	Uwaga: „Wnioskodawca nie przedstawił badań RCT dowodzących wyższości wnioskowanej technologii nad refundowanym komparatorem, zatem zachodzą okoliczności opisane w art. 13 ust. 3 UoR. Wnioskodawca oszacował jednak ceny z art. 13 ust. 3 zrównując koszty naliczone przy założeniu różnych efektów zdrowotnych. Nie jest to podejście prawidłowe i może prowadzić do naliczenia wyższych kosztów skuteczniejszej interwencji (np. zapewniającej dłuższe przeżycie), a w konsekwencji do tym niższej ceny, im większa skuteczność interwencji. Zgodnie z przyjętą przez AOTMiT interpretacją analitycy Agencji oszacowali cenę zrównującą koszty interwencji i komparatora, przy założeniu braku różnic w efektach zdrowotnych. Wykorzystano kategorie kosztów oraz wartości oszacowane przez wnioskodawcę w rocznym horyzoncie czasowym. Cena zbytu netto zgodna z art. 13 ust. 3, przy której koszt interwencji jest nie wyższy niż koszt komparatora, wynosi zgodnie z oszacowaniami analityków Agencji [REDACTED] [REDACTED]

	Odpowiedź: Powyżej zacytowano całą treść rozdziału 5.2.2. Analizy weryfikacyjnej. Pomimo, że tytuł tego rozdziału to „Wyniki analizy progowej”, nie przedstawiono w nim (ani jakimkolwiek innym miejscu w całym dokumencie) ceny progowej wynikającej z oszacowań analizy kosztów-użyteczności, [REDACTED] [REDACTED] Cena ta jest najistotniejsza w kontekście wnioskowania, ponieważ jest wynikiem wszystkich obliczeń wykonywanych w ramach analizy ekonomicznej w ramach skrupulatnie budowanej struktury modelu odzwierciedlającej praktykę leczenia, skuteczność i koszty poszczególnych terapii. Negowanie w tym momencie znaczenia ceny progowej liczonej zgodnie z zapisami Ustawy o refundacji oznaczałoby zanegowanie istoty wykonywania analiz ekonomicznych techniką kosztów-użyteczności oraz znaczenia dodatkowego efektu zdrowotnego generowanego przez wnioskowaną technologię.
Rozdział 6.3. (str. 36)	Uwaga: „Założenia zostały dobrze uzasadnione, niemniej Konsultant Wojewódzka od której Agencja otrzymała opinię wskazała, że liczba pacjentów z wnioskowanym wskazaniem to obecnie 60 osób, a odsetek osób, u których oceniana technologia byłaby stosowana po objęciu jej refundacją to ok. 20-25 osób [REDACTED] [REDACTED] Odpowiedź: [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]

* 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.