

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	DAS.423.1.2.2025
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem czynnika VIII (ICD-10: D66)”

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[†].

- 1. Część I -Deklaracja o Powiązaniach Branżowych (DPB)[‡] – do wypełnienia w przypadku uwag do analizy weryfikacyjnej**

^{*} 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.)

[†] zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2024 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:

Krzysztof Stanisław Adamcewicz [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:

[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.

Nie dotyczy

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.

Warszawa, dnia 7.08.2025

.....

(data i miejscowość złożenia deklaracji)

(podpis osoby składającej deklarację)

2. Część II - Uwagi

1. Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

	Uwagi
Rozdział 4.1.1 (strona 42) Rozdział 4.1.4.1. (strona 53) Rozdział 11 (strona 134)	„Warto wskazać, że zapisy uzgodnionego programu lekowego definiują ciężki fenotyp krwotoczny, jako więcej niż 6 wylewów w ciągu 12 miesięcy. Dodatkowo wymagane jest poprzednie prawidłowe stosowanie profilaktyki krwawień w przypadku pacjentów z ciężką postacią hemofilii A za wyjątkiem pacjentów poniżej 18 roku życia kwalifikowanych po raz pierwszy do leczenia profilaktycznego.” „Populacja pacjentów z umiarkowaną postacią choroby była przedmiotem jednego badania – HAVEN 6. Pacjenci ci stanowili podgrupę chorych [n/N=51/72 (70,8%)], z czego n'/n=28/51 (54,9%) otrzymywało wcześniej leczenie profilaktyczne. W ramach kryteriów włączenia do badania nie uwzględniono wymogu ciężkiego fenotypu krwotocznego definiowanego jako więcej niż 6 wylewów w ciągu 12 miesięcy. Liczba krwawień w czasie 24 tygodni przed rozpoczęciem badania, średnia (SD) w podgrupie pacjentów z umiarkowaną hemofilią A wyniosła 2,7 (3,1).” Uwaga: W badaniu HAVEN 3 średnia liczba krwawień w podgrupie chorych z umiarkowaną postacią choroby przed leczeniem EMI wynosiła 2,7 krwawień na 24 tyg. tj. 6 miesięcy, co można ekstrapolować do wartości 5,4 krwawienia w czasie 12 miesięcy. Ponadto wskaźnik ABR oparty na modelu ujemnej regresji dwumianowej przedstawiony w publikacji Negrier 2023 do badania HAVEN 6 wskazuje, iż ABR przed leczeniem EMI wynosił 12,2 dla podgrupy chorych leczonych uprzednio profilaktycznie FVIII oraz 6,0 dla podgrupy chorych z umiarkowaną postacią choroby. Zatem kryterium liczby krwawień w odniesieniu do definiowania ciężkiego fenotypu krwotocznego nie powinno stanowić znaczącego ograniczenia. Obie podgrupy wskazywały na istotną zmianę wyniku po rozpoczęciu profilaktyki EMI. Warto podkreślić, że kryteria zdefiniowane w UPL należy uznać za zbyt restrykcyjne o czym świadczą m.in. wypowiedzi opiniowanych ekspertów klinicznych. Prof. dr hab. n. med. Walentyn Balwierz wskazała, iż „w przypadku umiarkowanej hemofilii liczba krwawień powyżej 6 wyklucza możliwość włączenia do terapii emicizumabem tej grupy pacjentów”. Również prof. dr hab. med. Jerzy Windyga wskazał, że kryterium 6 krwawień to zdecydowanie za wysoka wartość. Obydwoje ekspertów zasugerowało zmniejszenie liczby krwawień do 3, co (jak wskazuje prof. dr hab. n. med. Walentyna Balwierz) „bardziej odpowiada charakterystyce pacjentów z umiarkowaną postacią choroby z ciężkim fenotypem krwotocznym”.
Rozdział 4.1.1 (strona 43) Rozdział 4.1.4.1 (strona 54)	„W kryteriach włączenia brano pod uwagę zarówno istotne klinicznie punkty końcowe jak i surogaty. Wybrane punkty końcowe są zgodne z uznawanymi przez ekspertów klinicznych istotnymi klinicznie punktami końcowymi. W przypadku pacjentów pediatrycznych właściwe byłoby również uwzględnienie punktów końcowych dot. rozwoju fizycznego, aktywności fizycznej i stanu stawów.” „W ramach analizy Wnioskodawca nie przedstawił wyników dla szeregu punktów końcowych ocenianych we włączonych badaniach, w tym istotnych klinicznie punktów końcowych dotyczących: jakości życia, utraty dni szkolnych lub w pracy, aktywności fizycznej chorego [HAVEN 3] (...)” Uwaga:

	W ramach Analizy Klinicznej Wnioskodawca przedstawił wszystkie dostępne wyniki dotyczące oceny jakości życia spełniające kryteria włączenia do analiz, w tym m.in. kwestionariusz CATCH, w ramach którego ocenie poddano postrzeganie ryzyka aktywności rekreacyjnej oraz społecznej u chorych pediatrycznych (badanie HAVEN 6). Wyniki wskazywały na osiągnięcie poprawy u chorych w czasie leczenia EMI. W badaniu HAVEN 3 analizowano kwestionariusz SQ-ISHI, na podstawie którego stwierdzono poprawę w ocenie m.in. wpływu leczenia na podróżowanie, czas wolny czy codzienne aktywności. Zatem w Analizie Klinicznej przedstawiono wszystkie opublikowane istotne kliniczne punkty końcowe. Pozostałe punkty końcowe wskazane w protokołach, np. aktywność fizyczna chorego czy utraty dni szkolnych lub w pracy nie zostały opisane w publikacjach jako oddzielne punkty końcowe natomiast stanowią pośrednią składową powyżej opisanych kwestionariuszy.
Rozdział 4.1.4.1. (strona 54)	<i>„Brak szczegółowych informacji nt. uprzednio stosowanej profilaktyki czynnikiem VIII (m.in.: rodzaj stosowanego czynnika, stosowane dawkowanie, uwzględnienie indywidualnej farmakokinetiki pacjenta), u pacjentów stosujących profilaktykę przed włączeniem do ocenianych badań. Wiąże się to z niepewnością, dotyczącą kwestii optymalnego leczenia w ramach profilaktyki krwawień.”</i> Uwaga: W badaniu HAVEN 3, wskazano odsetki chorych stosujących poszczególne rodzaje FVIII. W obecnej praktyce klinicznej w Polsce wybór czynnika krzepnięcia VIII zależy od kilku czynników. W obecnym programie lekowym nowozdiagnozowane dzieci mogą otrzymać wyłącznie rekombinowany czynnik, natomiast dzieci otrzymujące wcześniej profilaktykę, mogą otrzymać zarówno rFVIII, jak i pdFVIII. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne uwzględnia oba rodzaje FVIII. Przy czym ostatecznie wybór dostarczanych czynników krzepnięcia zależy od tego, jaki czynnik został zakupiony przez NCK na podstawie bieżącego postępowania przetargowego. Na podstawie powyższego można przyjąć, że rodzaj podawanego czynnika w Polsce nie jest jednostkowo dopasowywany do chorego i nie uwzględnia indywidualnej farmakokinetiki pacjenta, szczególnie w przypadku chorych włączonych do Narodowego Programu. Natomiast w zakresie dawkowania czynnika należałoby uznać, że w przypadku każdego chorego powinno zostać odpowiednio dobrane przez lekarza, również w innych krajach, w których prowadzono badania kliniczne. Tym samym brak informacji w badaniach klinicznych o rodzaju stosowanego czynnika czy dawkowaniu nie stanowi znaczącego ograniczenia uwzględnionych badań.
Rozdział 5.3. (str. 101) Rozdział 5.3.1. (str. 103)	<i>„W modelu uwzględniono średni początkowy wiek pacjenta na poziomie „0 lat”. Należy wskazać, że pacjenci nowozdiagnozowani rozpoczynający leczenie profilaktyczne stanowią podgrupę pacjentów rozpoczynających terapię za pomocą EMI w ramach wnioskowanego wskazania.”</i>

	Przyjęte podejście prowadzi do zaniżenia kosztów terapii EMI w modelu, gdzie dla początkowych lat analizy naliczane są koszty EMI dla pacjenta pediatrycznego o relatywnie niskiej masie ciała (dawka EMI jest zależna od masy ciała pacjenta) i gdzie wpływy dyskontowania kosztów terapii są najmniejsze.” Odpowiedź: Wnioskodawca w dostarczonym modelu posługiwał się określeniem „wieku wejścia do modelu” a nie „średnim wiekiem wejścia do modelu”, tak jak to przedstawiono w uwadze. Przyjęcie takiego nazewnictwa było świadomym zabiegiem. Tak jak to opisano w uwadze, prawdą jest, że średni wiek pacjentów rozpoczynających leczenie profilaktyczne w populacji docelowej jest wyższy niż 0 lat. Prawdą jest także to, że chorzy nowozdiagnozowani rozpoczynający leczenie stanowią podgrupę pacjentów rozpoczynających terapię za pomocą EMI w ramach wnioskowanego wskazania. Jednakże w ten sam sposób można powiedzieć, że chorzy dorośli rozpoczynający leczenie stanowią podgrupę populacji docelowej. W związku z tym, gdyby (średni) wiek początkowy w modelu wynosił kilkadziesiąt lat , zupełnie nie ujęto by w oszacowaniach kosztów EMI dawek stosowanych u pacjentów pediatrycznych – w sposób niezgodny z rzeczywistością zawyżono by zatem koszt leku w ramieniu wnioskowanej interwencji. I to właśnie w ramach tego rozwiązania, <u>(„należałoby dostosować do rzeczywistego średniego wieku pacjenta rozpoczynającego terapię”), obliczenia byłyby wykonane jedynie dla podgrupy chorych (dorosłych) i w jakikolwiek sposób nie wzięto by pod uwagę znaczącej podgrupy pacjentów z populacji docelowej (dzieci).</u> Jedynie ustalenie wieku początkowego na poziomie 0 lat (tak jak przyjął Wnioskodawca) pozwala uwzględnić w horyzoncie czasowym analizy charakterystyki całego przekroju populacji docelowej włącznie z wielkością dawek EMI. Założenie średniego wieku początkowego na poziomie kilkadziesięciu lat oznaczałoby, że w oszacowaniach wielkości dawek EMI (oraz kosztu samego leku) w żadnym momencie horyzontu czasowego modelu nie ujęto by niższych dawek stosowanych u pacjentów pediatrycznych. W modelu przedstawionym przez Wnioskodawcę uwzględniono zarówno dawki stosowane przez dzieci, jak i dorosłych, a horyzont czasowy i tak obejmuje w większości okres dorosłości, zatem trudno w tym przypadku mówić o zaniżeniu kosztu EMI. Dyskontowanie i jego skala jest natomiast rozwiązaniem narzucanym z góry zgodnie z Wytycznymi AOTMiT.
Rozdział 5.3. (str. 101)	„Horyzont należałoby dostosować do rzeczywistego średniego wieku pacjenta rozpoczynającego terapię za pomocą EMI zgodnie z charakterystyką wnioskowanej populacji pacjentów.” Odpowiedź: Długość horyzontu czasowego przyjętego w modelu ekonomicznym jest wynikiem formuły, tj. różnicy 100 lat (maksymalny wiek, dla którego dostępne są dane dotyczące śmiertelności w ramach tablic trwania życia) oraz wieku wejścia do modelu. Z technicznego punktu widzenia długość horyzontu czasowego jest zatem pochodną wartości innego parametru (wieku wejścia do modelu) i nie należy jej rozpatrywać w ramach odrębnej uwagi, ponieważ w sferze koncepcyjnej sposób wyznaczenia długości horyzontu czasowego nie budzi wątpliwości.

Rozdział 5.3.1. (str. 102)	<i>„Formalnie należy wskazać, iż nie uwzględniono definicji ciężkiego fenotypu krwotocznego zawartego w UPL. Analiza ekonomiczna dot. szerszej populacji pacjentów z umiarkowaną postacią choroby niż definiowana przez zapisy UPL.”</i> Odpowiedź: Należy zaznaczyć, że tak jak opisano w uwadze, z punktu widzenia analizy ekonomicznej definicja ciężkiego fenotypu krwotocznego jest wyłącznie kwestią formalną, która nie kwestionuje poprawności w zakresie przyjętych wartości parametrów czy założeń modelu. W konsekwencji uzyskane wyniki analizy są także poprawne dla populacji definiowanej przez zapisy UPL. Warto także podkreślić, że zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych dokładne brzmienie definicji ciężkiego fenotypu krwotocznego może ulec zmianie a podejście uwzględniające szerszą populację daje przeprowadzonej analizie elastyczność w pokryciu ostatecznej populacji docelowej.
Rozdział 5.3.1. (str. 102-103)	<i>„W ramach obecnie funkcjonującego programu B.15. finansowanie realizacji wywoływania tolerancji immunologicznej odbywa się poprzez realizację stosownych umów z podmiotami odpowiedzialnymi. Tym samym uwzględnienie jego kosztu w ramieniu komparatora powoduje przeszacowanie kosztów leczenia profilaktycznego pacjentów pediatrycznych za pomocą FVIII. Analogiczna sytuacja ma miejsce dla części pacjentów leczonych w ramach Narodowego Programu (Moduł 2), gdzie program immunotolerancji jest finansowany ze środków publicznych wyłącznie w przypadku, gdy niemożliwe jest wykazanie odpowiedzialności podmiotu odpowiedzialnego za wytworzenie inhibitora.”</i> Odpowiedź:
Rozdział 5.3.2. (str. 103)	<i>„Uwzględnione w analizie dane dot. jakości życia pochodzą z pracy dot. pacjentów dorosłych. Dla populacji pediatrycznej preferowane byłoby uwzględnienie danych dot. wartości użyteczności właściwych dla wieku. Analitycy Agencji nie odnaleźli takich danych.”</i> Odpowiedź: Nie udowodniono, że średnie użyteczności w populacji badanej w badaniu Young 2023, tj. mężczyzn w wieku 18-64 lata, nie są właściwe dla populacji pediatrycznej. Poza tym sami analitycy Agencji nie odnaleźli danych dla populacji dzieci, więc trudno kwestionować przyjęte założenia modelu w tym zakresie. Ponadto wartości użyteczności w stanach przyjętych w modelu testowano w ramach analizy wrażliwości, w związku z czym sprawdzono potencjalny zakres zmienności wyników w przypadku przyjęcia alternatywnych wartości tychże parametrów.

Rozdział 6.3. (str. 108) oraz Rozdział 6.3.1. (str. 109)	<i>„Długość horyzontu czasowego obejmuje okres dwóch lat. W opinii Agencji należało przyjąć dłuższy horyzont czasowy. Przyjęte dwa lata nie obrazują w pełni konsekwencji potencjalnej pozytywnej decyzji refundacyjnej dla przedmiotowego wniosku.”</i> oraz <i>„Przyjęty horyzont czasowy analizy nie jest wystarczający do ustalenia równowagi na rynku (tj. osiągnięcia docelowej stabilnej wielkości sprzedaży bądź liczby leczonych pacjentów) zgodnie z wytycznymi AOTMiT. Biorąc po uwagę uwzględnione stopniowe włączanie pacjentów do programu przyjęty horyzont nie obrazuje także w pełni kosztów objęcia finansowanie EMI w oszacowanej przez Wnioskodawcę populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.</i> <i>Zgodnie z modelowaniem w AE oraz zapisami ChPL Hemlibra emicizumab jest przeznaczony do długotrwałej profilaktyki (docelowo dożywotnej). Biorąc powyższe pod uwagę powyższe stan równowagi może nie zostać osiągnięty nawet w horyzoncie 10-letnim, oznacza to stały, o zmniejszonym natężeniu w czasie, wzrost liczby pacjentów leczonych za pomocą EMI.”</i> Odpowiedź: W AWB przyjęto horyzont dwuletni w oparciu o wytyczne AOTMiT i okres obowiązywania decyzji refundacyjnej. Dodatkowo rozwój nowych cząsteczek i trwające procesy refundacyjne powodują trudności w precyzyjnym oszacowaniu momentu osiągnięcia równowagi rynkowej w dłuższym okresie, co wynika z ograniczonej dostępności danych prognostycznych oraz zmienności na rynku farmaceutycznym. Twierdzenie o stałym wzroście liczby pacjentów leczonych EMI, nawet przy zmniejszonym natężeniu, nie uwzględnia w pełni dynamiki rynku farmaceutycznego, w tym potencjalnego wpływu nowych technologii lub cząsteczek, które mogą wpłynąć na preferencje terapeutyczne i wielkość populacji leczonej. Po drugie, zapisy ChPL wskazujące na dożywotnią profilaktykę nie oznaczają automatycznie liniowego wzrostu liczby pacjentów w długim okresie, ponieważ czynniki takie jak adherencja, ograniczenia budżetowe czy zmiany w kwalifikowalności pacjentów mogą istotnie wpłynąć na rzeczywistą populację objętą leczeniem. W związku z tym, sugerowanie, że równowaga rynkowa nie zostanie osiągnięta w horyzoncie 10-letnim, wydaje się zbyt konserwatywnym założeniem, które może prowadzić do przeszacowania kosztów budżetowych.
Rozdział 6.3.1. (str. 109)	<i>„Nie uwzględniono precyzyjnej definicji ciężkiego fenotypu krwotocznego zgodnie z zapisami UPL, co potencjalnie może wpływać na niewielkie przeszacowanie wielkości populacji docelowej. Dodatkowo nie uwzględniono w ramach szacunków populacji pacjentów dorosłych pacjentów z umiarkowaną postacią choroby, co prowadzi do niedoszacowanie wielkości populacji pacjentów. Zgodnie z szacunkami ankietowanych ekspertów klinicznych można wskazać, iż w Polsce do terapii EMI kwalifikowałoby się ok. 25 pacjentów z umiarkowaną hemofilią A o ciężkim fenotypie krwotocznym.</i> Odpowiedź: W AWB w liczebności populacji docelowej uwzględniono populację dorosłych chorych z umiarkowaną postacią hemofilii A. Wnioskodawca stoi w dalszym ciągu na stanowisku, iż obecność ciężkiego fenotypu krwotocznego u pacjentów z umiarkowaną hemofilią A jest wystarczającą przesłanką do tego, aby dorosły pacjent mógł zostać zakwalifikowany do profilaktyki w programie polityki zdrowotnej.

	Znacznie tym samym wyolbrzymiono w obliczeniach Agencji skalę niedoszacowania szacunków przedstawionych w AWB Wnioskodawcy.
--	---

* 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

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 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;
- 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 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 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 międzynarodowych

