

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	DIPOTM.423.1.3.2025
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Oxlumio (lumasiranum) we wskazaniu: zgodnym z zapisami programu lekowego B.129.FM Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8).

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. 2024 r., poz. 930 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:

Tomasz Fortunat Barański

[REDACTED]

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

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

[REDACTED]

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

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

[REDACTED]

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

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

[REDACTED]

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

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

[REDACTED]

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

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

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

C. Oświadczenie (zaznaczyć właściwe)

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

- ☒ nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy;
- ☐ zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy, tj.:
 - ☐ 1) pełnienie funkcji członka organów spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym;
 - ☐ 2) pełnienie funkcji członka organu spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzących działalność gospodarczą w zakresie świadczenia usług prawnych, marketingowych lub doradczych związanych z wytwarzaniem, obrotem lub refundacją

leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego;

- ☐ 3) pełnienie funkcji członka organów spółdzielni, stowarzyszeń lub fundacji prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2;
- ☐ 4) posiadanie akcji lub udziałów w spółkach handlowych prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2, oraz udziałów w spółdzielniach prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2;
- ☐ 5) prowadzenie działalności gospodarczej w zakresie, o którym mowa w pkt 1 i 2;
- ☐ 6) wykonywanie zajęć zarobkowych na podstawie stosunku pracy, umowy o świadczenie usług zarządczych, umowy zlecenia, umowy o dzieło lub innej umowy o podobnym charakterze zawartej z podmiotami, o których mowa w pkt 1–3, przy jednoczesnym braku złożenia oświadczenia o wykonywaniu zajęć zarobkowych na rzecz określonych podmiotów oraz braku wskazania ich zakresu.

W przypadku:

- 1) zaznaczenia, że nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy, oraz
- 2) wykonywania przez osobę albo osoby wskazane w deklaracji zajęć zarobkowych na podstawie stosunku pracy, umowy o świadczenie usług zarządczych, umowy zlecenia, umowy o dzieło lub innej umowy o podobnym charakterze zawartej z podmiotami, o których mowa w art. 31s ust. 8 pkt 1–3 ustawy

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

Dyrektor Generalny Medison Pharma Sp. z o.o.

.....
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.

Signed by /
Podpisano przez:

Tomasz Fortunat
Barański
Medison Pharma
Sp. z o.o.



Date / Data: 2025-

12-10-2025

10/12/2025 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
Rozdział 2., str. 11-13 Rozdział 4.1.1., str. 21 Rozdział 5.3.1., str. 47	<u>Uwaga:</u> <i>Brak grupy kontrolnej (...) dla pacjentów z eGFR <30 ml/min/1,73 m² oraz po przeszczepie (...)</i> <i>Wytyczne nie odnoszą się natomiast wprost do możliwości stosowania LUM u chorych po przeszczepie nerki. (...) dane dot. stosowania LUM u chorych po przeszczepieniu nerki obejmowały jedynie pojedyncze przypadki. W kryteriach włączenia nie uwzględniono populacji pacjentów po przeszczepieniu nerki.</i> <u>Odpowiedź:</u> Należy równocześnie zwrócić uwagę, że ze względu na niską częstość występowania choroby wykonanie takiego porównania wiązałoby się z koniecznością wprowadzania do modelu indywidualnych danych każdego chorego. Z metodologicznego punktu widzenia, zestawienie indywidualnych danych chorych leczonych lumazyranem z danymi chorymi na PH1 wyłącznie po przeszczepieniu byłoby obarczone znacznie większą niepewnością i ograniczeniami niż ekstrapolowanie wyników ogółem na populację obejmującą pojedyncze przypadki. Uogólnienie wyników z punktu widzenia analizy jest zasadne, gdyż w każdym z badań ILLUMINATE, lumazyran prowadził do znacznej poprawy analizowanych parametrów. Warto również podkreślić opinię ekspertów klinicznych, którzy wskazali na brak danych dotyczących liczby chorych z przeszczepioną nerką, u których przyczyną niewydolności nerek była PH1. Dostępne są jedynie pojedyncze opisy wskazujące, że PH1 bywało nierozpoznane aż do utraty przeszczepionej nerki z powodu nawrotu choroby podstawowej. To z kolei oznacza, że u części chorych doszło do transplantacji nerki zanim ustalono właściwe rozpoznanie. Tak znaczne ograniczenie dostępnych dowodów (jedynie do pojedynczych opisów przypadków) oraz brak

	twardych danych ilościowych, również uzasadnia poprawność przyjętych założeń.
Strona 45 Rozdział 5.2.2.	<u>Uwaga:</u>
	<u>Odpowiedź:</u>
Strona 50 Rozdział 6.2.1	<u>Uwaga:</u>
	<u>Odpowiedź:</u>
Strona 51 Rozdział 6.2.2	<u>Uwaga:</u>
	<u>Odpowiedź:</u>

Strona 53 Rozdział 6.3.2 Strona 52 Rozdział 6.3.	<u>Uwaga:</u>
	<u>Odpowiedź:</u>



Rozdział 3.3. str. 20 Rozdział 4.1.1., str. 21	<u>Uwaga:</u> <i>Zgodnie z wytycznymi klinicznymi komparatorem w populacji z bardziej zaawansowaną PChN (stadium IV-V) jest również dializoterapia oraz przeszczep wątroby i nerki.</i> <u>Odpowiedź:</u> Zarówno dializoterapia, jak i przeszczepienie wątroby ± nerki nie stanowią komparatorów dla lumazyranu w omawianej populacji. W aktualnych wytycznych EAU 2025 oraz OHF 2024 nie są one wskazywane jako zalecane metody leczenia PH1 u chorych z zachowaną funkcją nerek, gdy dostępna jest terapia RNAi. Wytyczne OHF podkreślają, że choć przeszczepienie wątroby przywraca prawidłowy metabolizm szczawianu, wiąże się z istotnym ryzykiem klinicznym, wysokimi kosztami oraz ograniczoną dostępnością narządów, dlatego stanowi opcję dopiero po niepowodzeniu terapii RNAi lub w razie jej niedostępności. Co istotne, zgodnie z kryteriami programu lekowego przebyte przeszczepienie wątroby wyklucza możliwość leczenia lumazyranem, co dodatkowo potwierdza brak równorzędności obu technologii. Dializoterapia także nie może pełnić roli komparatora, ponieważ nie jest leczeniem modyfikującym przebieg choroby – nie wpływa na nadprodukcję szczawianu, nie zapobiega oksalozie i pełni wyłącznie funkcję pomostową do przeszczepienia, wspomagając jedynie częściowe usuwanie nagromadzonego szczawianu. W konsekwencji ani przeszczepienie, ani dializoterapia nie realizują tego samego celu terapeutycznego co lumazyran i nie zapewniają porównywalnych efektów klinicznych, przez co nie mogą być traktowane jako komparatory w ocenie HTA.
Rozdział 2., str. 11 Rozdział 4.1.1., str. 22	<u>Uwaga:</u> <i>Wyniki opierają się głównie na parametrach biochemicznych (redukcja szczawianów), a nie na twardych punktach końcowych (przeżycie przeszczepu, progresja PChN) Zawężenie punktów końcowych jedynie do wymienionych przez wnioskodawcę może stanowić błąd metodologiczny – istnieje ryzyko pominięcia twardych punktów końcowych takich jak m.in. progresja PChN oraz przeżycie przeszczepu.</i> <u>Odpowiedź:</u> W chorobach ultrazadkich – w tym metabolicznych chorobach wrodzonych – stosowanie twardych punktów końcowych (np. przeżycie przeszczepu czy progresja PChN), w kontekście analiz HTA jest bardzo ograniczone. Należy mieć na uwadze, że w chorobach o małej liczbie chorych, wysokiej heterogenności przebiegu i długim horyzoncie naturalnej progresji, obserwacja

	takich zdarzeń wymaga wieloletniego okresu obserwacji oraz liczebności populacji niemożliwej do pozyskania. Dlatego agencje takie jak EMA, FDA, NICE czy CADTH rutynowo akceptują surogatowe punkty końcowe, jeśli są one: biologicznie uzasadnione, silnie skorelowane z ryzykiem powikłań, odzwierciedlają mechanizm działania terapii oraz są uznane w wytycznych klinicznych jako właściwe miary skuteczności W analizie zastosowano punkty końcowe zgodne z programem lekowym oraz charakterystyką PH1, obejmujące parametry szczawianowe (UOx, Pox), funkcję nerek (eGFR) i obecność złogów w układzie moczowym, które są bezpośrednio powiązane z patofizjologią choroby oraz mechanizmem działania lumazyranu. Twarde punkty końcowe, takie jak przeżycie przeszczepu czy progresja PChN, są w PH1 raportowane bardzo rzadko, a dodatkowo zależą od wielu czynników niemedycznych (dostępność transplantacji, czas rozpoznania, powikłania immunologiczne), co czyni je niewiarygodnymi jako mierniki efektu interwencji farmakologicznej. Efekt leczenia zostałby zniekształcony przez czynniki systemowe i indywidualne, a nie rzeczywisty wpływ terapii. Dlatego wykorzystanie parametrów biochemicznych i wczesnych wskaźników klinicznych nie jest zawężeniem analizy, lecz standardowym, zgodnym z międzynarodową praktyką i naukowo uzasadnionym podejściem do oceny skuteczności terapii w chorobach ultrarzadkich, szczególnie metabolicznych. W PH1 biomarkery te są nie tylko najbardziej dostępne i wiarygodne, ale również stanowią jedyne punkty końcowe pozwalające na rzetelną i terminową ocenę wpływu lumazyranu na przebieg choroby.
--	---

* 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 Rzecзовym 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.