

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OTAP.423.2.4.2025 Beyontra
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Beyontra (akoramidis) we wskazaniu leczenie dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej, w ramach programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”

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)

Stowarzyszenie
rodzin z amyloidozą TTR
ul. Kaczeńce 24/2
32-020 Wieliczka
NIP: 9442271137

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:

..... Zbigniew Marek Pawłowski

..... 

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

..... 

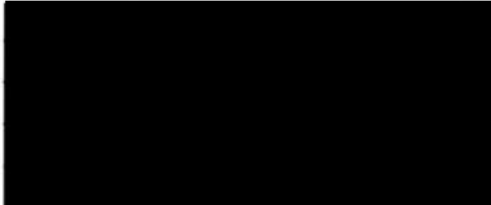
3. Imię (imiona) i nazwisko wstępnego/wstępnych w linii prostej osoby składającej deklarację:

..... 

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

..... 

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

..... 

↓

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

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

C. Oświadczenie (zaznaczyć właściwe)

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

nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy;

zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy, tj.:

- 1) pełnienie funkcji członka organów spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym;
- 2) pełnienie funkcji członka organu spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzących działalność gospodarczą w zakresie świadczenia usług prawnych, marketingowych lub doradczych związanych z wytwarzaniem, obrotem lub refundacją leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego;
- 3) pełnienie funkcji członka organów spółdzielni, stowarzyszeń lub fundacji prowadzących działalność, o której mowa w pkt 1 i 2;



-) 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.

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

nie dotyczy

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Konewice 25.02.2026.

(data i miejscowość złożenia deklaracji)

Zbigniew Pawłowski

(podpis osoby składającej deklarację)

**Stowarzyszenie
rodzin z amyloidozą TTR**
ul. Kaczeńca 24/2
32-020 Wieliczka
NIP: 9442271137

Stowarzyszenie
rodzin z amyloidozą TTR
Zbigniew Pawłowski
Prezes Stowarzyszenia
tel: 604 41 716

2. Część II – Uwagi

1) Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>Jako Stowarzyszenie Rodzin z Amyloidozą TTR uważamy, że w obliczu rosnącej liczby pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej wprowadzenie nowej opcji terapeutycznej, jaką jest akoramids (Beyontra), jest uzasadnione i potrzebne. Obecnie jedynym dostępnym lekiem w tej kategorii jest tafamidis, co niepotrzebnie ogranicza możliwości terapeutyczne dla pacjentów oraz lekarzy.</p> <p>Argumenty za objęciem refundacją akoramidisu:</p> <ol style="list-style-type: none"> Rozszerzenie opcji terapeutycznych: Wprowadzenie akoramidisu do refundacji poszerzy wachlarz dostępnych terapii, co jest kluczowe w kontekście indywidualizacji leczenia. Każdy pacjent może reagować inaczej na terapię, a dodatkowy lek daje lekarzom większą elastyczność w doborze najskuteczniejszej metody. Alternatywa w przypadku działań niepożądanych: Istotnym argumentem za włączeniem akoramidisu jest fakt, że niektórzy pacjenci mogą doświadczać działań niepożądanych związanych z jedną terapią. W takim przypadku dostępność alternatywnej opcji terapeutycznej może mieć kluczowe znaczenie dla kontynuacji skutecznego leczenia. Zgodność z wytycznymi medycznymi: Wprowadzenie akoramidisu do leczenia kardiomiopatii jest zgodne z aktualnymi wytycznymi leczenia kardiomiopatii, które wskazano również w komentowanej analizie. Zapewnienie polskim pacjentom leczenia na poziomie europejskim: Wiele krajów już wprowadziło akoramids jako standard leczenia, co wskazano również w komentowanej analizie. Polscy pacjenci mają prawo do dostępu do leczenia na poziomie europejskim. <p>Podsumowanie Włączenie akoramidisu (Beyontra) do terapii kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej jest uzasadnione i potrzebne. Rozszerzenie dostępnych opcji terapeutycznych dla pacjentów i lekarzy, a także możliwość zaoferowania alternatywy w przypadku działań niepożądanych, stanowi kluczowy element w dążeniu do poprawy jakości życia pacjentów oraz efektywności leczenia.</p>

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

2) Uwagi do analiz wnioskodawcy

a. Uwagi do analizy klinicznej

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
(dot. rozdz. 7 skuteczność; s. 7–10 AKL)	<p>W analizie wykazano, że akoramidis:</p> <ul style="list-style-type: none"> ● istotnie statystycznie poprawia wyniki pierwszorzędowych punktów końcowych (hierarchiczna ocena zgonów i hospitalizacji), ● poprawia dystans w teście 6-MWT, ● zmniejsza pogorszenie jakości życia (KCCQ-OS), ● wykazuje korzystny profil bezpieczeństwa. <p>W szczególności:</p> <ul style="list-style-type: none"> ● w porównaniu z placebo wykazano przewagę w zakresie zgonów i hospitalizacji sercowo-naczyniowych (AKL, s. 7–9), ● profil bezpieczeństwa nie wskazuje na nowe, istotne ryzyka (AKL, s. 8–9). <p>Z perspektywy pacjentów kluczowe znaczenie ma:</p> <ul style="list-style-type: none"> ● spowolnienie utraty sprawności fizycznej, ● redukcja hospitalizacji, ● możliwość dłuższego zachowania samodzielności. <p>Podkreślamy, że ATTR-CM jest chorobą postępującą; nawet umiarkowane zahamowanie progresji przekłada się na istotne klinicznie i społeczne korzyści.</p>

* 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
<p>(dot. rozdz. 1.4 i 3 analiza minimalizacji kosztów) „Beyontra_C MA@2025.02.17_czarne_be zpieczne.pdf</p>	<p>W analizie przyjęto zasadność CMA ze względu na brak istotnych różnic skuteczności względem tafamidisu (analiza pośrednia).</p> <p>Jednocześnie:</p> <ul style="list-style-type: none"> • przy uwzględnieniu RSS terapia akoramidsem jest tańsza od tafamidisu, • nawet bez RSS różnice kosztowe są ograniczone, • analiza została przeprowadzona konserwatywnie (1-roczy horyzont, brak modelowania progresji). <p>Z punktu widzenia stowarzyszenia należy podkreślić, że:</p> <ul style="list-style-type: none"> • analiza nie uwzględnia kosztów pośrednich (utrata zdolności do pracy, opieka nieformalna), • nie uwzględnia kosztów społecznych narastającej niesamodzielności, • nie modeluje długoterminowego efektu redukcji hospitalizacji. <p>Oznacza to, że rzeczywisty efekt budżetowy może być korzystniejszy niż wskazano w analizie.</p>

* 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.

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 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 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.

**Stowarzyszenie
rodzin z amyloidozą TTR**
ul. Kaczeńce 24/2
32-020 Wieliczka
NIP: 9442271137

Stowarzyszenie
rodzin z amyloidozą TTR
Zbigniew Pawłowski
Prezes Stowarzyszenia
tel: 604 141 716