



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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
<b>Numer:</b>	OTOW.423.2.5.2025
<b>Tytuł:</b>	Wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego Agamree (vamorolonum) w ramach programu lekowego: Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a (DMD) (ICD-10: G71.0)

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>.

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

AGENCJA OCENY TECHNOLOGII MEDYCZNYCH I TARYFIKACJI	
20 -02- 2026	
Sekretariat Główny	
ip. z kontr.wpt. ....	.....
liczba zał. ....	.....

<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. 2025 r., poz. 907 z późn. zm.)

<sup>2</sup> 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:

Katarzyna Elżbieta Sikorska

2. Imię (imiona) i nazwisko małżonki/małżonka 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;
  - 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.

**Świadczenie pielęgnacyjne na dziecko z niepełnosprawnością**

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.

18.02.2026 Radom.....

(data i miejscowość złożenia deklaracji)

Katarzyna Siharowska.....

(podpis osoby składającej deklarację)

## 2. Część II – Uwagi

### 1) Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
6.3 Tabela 15	<p>W odniesieniu do przedstawionych różnic między wamorolonem, a deflazakortem, który od roku i 4 miesięcy przyjmuje mój 5-letni syn, zwracam szczególną uwagę na jakościową poprawę jego stanu zdrowia i funkcjonowania.</p> <p>Mimo krótkiego stosowania deflazakortu widoczne są istotne działania niepożądane. Na przestrzeni tego czasu doszło do udokumentowanego zahamowania wzrostu. Wyniki badań jasno wskazują też na początek osteopenii. Zarówno my jako rodzice, jak i specjaliści pracujący z naszym synem dostrzegamy też zmiany nastroju i problemy emocjonalne, które nie występowały w takim nasileniu przed sterydoterapią.</p> <p>Jako rodzic obserwuję, że obecnie podawane leki, które spowalniają postęp choroby, jednocześnie negatywnie wpływają na rozwój i zdrowie mojego dziecka. Jak wiemy, choroba ta ma charakter postępujący i nieodwracalny, ale to nasze decyzje i postępowanie każdego dnia ma znaczenie dla zachowania jak najdłuższej sprawności dziecka i poprawy jego funkcjonowania na co dzień. Widząc negatywne aspekty przyjmowania deflazakortu i czytając analizę problemu decyzyjnego dotyczącego Agamree, w którym jasno porównano te dwa leki, widoczny jest większy profil bezpieczeństwa dla nowego sterydu i mniej skutków ubocznych z którymi borykamy się już teraz. Dla nas jako rodziców niezwykle istotne jest, by syn otrzymał właśnie ten – lepszy i bezpieczniejszy lek.</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
Uwagi ogólne	<p>Z perspektywy rodzica dziecka z dystrofią mięśniową Duchenne'a, szczególnie istotne są nie tylko wyniki testów funkcjonalnych, ale także profil bezpieczeństwa leczenia.</p> <p>W przypadku małych dzieci wieloletnia ekspozycja na klasyczne glikokortykosteroidy (w przypadku naszego syna - deflazakort) wiąże się z wysokim ryzykiem działań niepożądanych, takich jak</p>

	<p>zahamowanie wzrostu, zaburzenia kostne, przyrost masy ciała czy zaburzenia metaboliczne.</p> <p>Mój syn już w wieku 5 lat, czyli 1 rok i 4 miesiące od rozpoczęcia sterydoterapii doświadcza zahamowania wzrostu oraz początków osteopenii, która prowadzi do większego prawdopodobieństwa dużo bardziej niebezpiecznych w przypadku tej jednostki chorobowej złamań. Mimo regularnych badań i dbania o suplementację potrzebnych witamin i minerałów nie da się uniknąć tych skutków ubocznych. Pokazuje to też, jak wcześnie pojawiają się powikłania leczenia standardowego.</p> <p>Dla nas jako rodziców, ale przede wszystkim dla samego chorego nawet umiarkowana poprawa bezpieczeństwa terapii i zmniejszenie skutków ubocznych, przy zachowaniu skuteczności, ma bardzo duże znaczenie kliniczne.</p>
--	---

\* 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>
Uwagi ogólne	<p>W przypadku mojego 5 - letniego syna już na wczesnym etapie leczenia wystąpiły poważne działania niepożądane, takie jak zahamowanie wzrostu, początki osteopenii, ale też problemy emocjonalne. Powikłania te wymagają dodatkowej diagnostyki, konsultacji specjalistycznych oraz leczenia, co generuje dodatkowe koszty dla systemu ochrony zdrowia.</p> <p>Długotrwała sterydoterapia wiąże się także z ryzykiem kolejnych powikłań, takich jak osteoporoza, zaburzenia metaboliczne, otyłość, nadciśnienie czy zaburzenia endokrynologiczne. Leczenie tych powikłań oraz ich konsekwencji stanowi istotne obciążenie ekonomiczne.</p> <p>Ponadto szybszy postęp choroby prowadzący do utraty sprawności spowoduje wzrost kosztów rehabilitacji, zaopatrzenia ortopedycznego, opieki specjalistycznej oraz w przyszłości kosztów opieki długoterminowej i świadczeń społecznych.</p> <p>To właśnie dlatego terapia o lepszym profilu bezpieczeństwa oraz potencjale spowalniająca postęp choroby może ograniczyć częstość powikłań oraz opóźnić moment utraty samodzielności, co w dłuższej perspektywie może zmniejszyć całkowite koszty ponoszone przez system ochrony zdrowia oraz system zabezpieczenia społecznego. Z ekonomicznego punktu widzenia szczególnie istotne jest rozpoczęcie bezpieczniejszego leczenia na wczesnym etapie</p>

	choroby, kiedy możliwe jest maksymalne wydłużenie okresu sprawności dziecka.
--	--

\* 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>
Uwaga ogólna	Dystrofia mięśniowa Duchenne'a jest chorobą rzadką, a liczba pacjentów kwalifikujących się do leczenia jest ograniczona. Istotnym aspektem jest fakt, że wczesne i bezpieczne leczenie może opóźnić utratę sprawności, co w przyszłości może zmniejszyć koszty związane z chorobą naszego syna. W związku z tym, z punktu widzenia systemu ochrony zdrowia oraz systemu zabezpieczenia społecznego inwestycja w skuteczne i bezpieczne leczenie na wczesnym etapie choroby również przynosi długoterminowe korzyści.

\* 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](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 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.