

Warszawa, dn. 04.03.2026 r.

Szanowny Pan
Daniel Rutkowski
Prezes Agencji Oceny Technologii
Medycznych i Taryfikacji
ul. Przeskok 2
00-032 Warszawa

Dotyczy: wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto dla produktu leczniczego **Ayvakyt® (avaprytynib)** w ramach programu lekowego B.115 „Leczenie chorych na indolentną mastocytozę układową (ICD-10: D47.0), znak pisma zlecającego, sygnatura i data wpłynięcia do AOTMiT: DOWM.4131.1.2026.2.KGr.

Szanowny Panie Prezesie,

w odpowiedzi na pismo otrzymane 16 lutego 2026 roku, znak sprawy DOWM.4131.1.2026.2.KGr, dotyczące niezgodności analiz załączonych do wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto produktu leczniczego:

- **Ayvakyt, avaprytynib, tabl. powł., 25 mg, 30 szt., GTIN: 08720165565214,**

w ramach programu lekowego B.115. „Leczenie chorych na indolentną mastocytozę układową (ICD-10: D47.0)” względem wymagań określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2023 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu netto, o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu netto technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu netto leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2023 r. poz. 2345) Swixx Biopharma Sp. z o.o., będący Wnioskodawcą, przesyła uzupełnienie analiz HTA.

Odpowiedzi na uwagi zawarte w piśmie DOWM.4131.1.2026.2.KGr dot. analizy HTA dla leku Ayvakyt®.

Uwaga 1:

Informacje zawarte w analizach nie są aktualne na dzień złożenia wniosku (§ 3 Rozporządzenia).

Wyjaśnienie: Analizy nie są aktualne na dzień złożenia wniosku, tj. 21.09.2025 r. (data ostatniego wyszukiwania w AKL: 11.02.2025 r., AE: 13.03.2025 r., wyszukiwanie informacji na temat bezpieczeństwa skierowanych do osób wykonujących zawody medyczne: 28.03.2025 r. oraz przegląd wytycznych klinicznych i rekomendacji refundacyjnych). W modelu ekonomicznym zostały wykorzystane nieaktualne Tablice trwania życia.

Proszę o aktualizację przeprowadzonych przeglądów oraz uwzględnienie nowych dowodów naukowych, wytycznych klinicznych oraz rekomendacji refundacyjnych opublikowanych przed i po dacie złożenia wniosku

Odpowiedź 1:

Przegląd systematyczny w bazach głównych oraz w bazach dodatkowych przeprowadzony w Analizie klinicznej został zaktualizowany 19 lutego 2026 r. Analiza kliniczna została uzupełniona o publikacje zidentyfikowane w ramach przeprowadzonej aktualizacji.

W Analizie Problemu Decyzyjnego przeprowadzono aktualizację wyszukiwania wytycznych klinicznych oraz rekomendacji refundacyjnych. Analiza została uzupełniona względem odnalezionych danych.

Przegląd systematyczny badań do oceny jakości życia chorych oraz innych analiz ekonomicznych wykonanych w Polsce lub za granicą przeprowadzony w Analizie ekonomicznej został zaktualizowany 25.02.2026 r. Analiza ekonomiczna została uzupełniona o publikacje zidentyfikowane w ramach przeprowadzonej aktualizacji.

Uwaga 2:

Analizy nie zawierają danych bibliograficznych wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji (§ 8 pkt 1 Rozporządzenia).

Wyjaśnienie:

- w bibliografii uwzględnionej w przedstawionych analizach brak pozycji odnoszących się do części źródeł wymienionych w treści analiz (np. w bibliografii zawartej w BIA brak pozycji odnoszący się do źródeł: EMA 2024, Gotlib 2023),

- bibliografia uwzględniona w przedstawionych analizach zawiera pozycje, do których nie ma odniesienia w treści poszczególnych analiz (np. w treści BIA brak odniesień do ChPL Ozzion®, Statystyki NFZ itp.).

Odpowiedź 2:

W odpowiedzi na zgłoszone uwagi dotyczące kompletności i spójności bibliografii uprzejmie informuję, że wszystkie wskazane nieścisłości zostały skorygowane:

- Bibliografia została uzupełniona o brakujące pozycje, w tym m.in. źródła EMA 2024 oraz Gotlib 2023, do których odwoływano się w treści analiz.

- Usunięto pozycje niewykorzystywane w analizach, takie jak ChPL Ozzion® czy Statystyki NFZ, aby zapewnić pełną zgodność pomiędzy bibliografią, a treścią dokumentu.

Uwaga 3:

Analizy nie zawierają wskazania innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz imion i nazwisk autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii (§ 8. ust. 2 Rozporządzenia).

Wyjaśnienie:

Nie przedstawiono danych ekspertów wykorzystanych w ramach badania ankietowego. Z uwagi na wykorzystanie w analizach opinii ekspertów oraz danych niepublikowanych, konieczne jest przedstawienie pełnej dokumentacji tych źródeł, w tym: imion i nazwisk autorów opinii, daty ich pozyskania, pełnej treści opinii oraz dokładnych źródeł wykorzystanych danych. Należy zaznaczyć, że brak dostarczenia materiałów źródłowych zawierających dane nieopublikowane, które zostały wykorzystane w analizach, uniemożliwia wiarygodną ocenę przedstawionych danych, co w konsekwencji przekłada się na ograniczoną możliwość wnioskowania i wykorzystania ww. danych.

[REDACTED]

[REDACTED] Dokumenty nie zostały załączone do analiz, w związku z czym nie mogą zostać zweryfikowane przez analityków Agencji. Proszę o doprecyzowanie w/w informacji, a także dołączenie danych źródłowych.

Odpowiedź 3:

Wnioskodawca dokonał odpowiednich uzupełnień. Wykorzystane w analizach dane niepublikowane załączono wraz z niniejszym pismem. Publikacja Sabato 2024 została załączona jako źródło opublikowane w odpowiednim folderze.

[REDACTED]

Uwaga 3 cd:

Proszę również o aktualizację analiz względem aktualnego Obwieszczenia MZ w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, obowiązującego w momencie składania uzupełnień, aktualnych cen, aktualnego progu opłacalności (244 821 PLN/QALY), a także aktualizację analiz w oparciu o najnowsze sprawozdania NFZ czy aktualne komunikaty DGL, które ukazały się po dacie złożenia wniosku. Proszę także o aktualizację informacji odnośnie refundacji Ayvakyt w krajach UE i EFTA.

Odpowiedź 3 cd:

Analizy zostały zaktualizowane względem aktualnego Obwieszczenia MZ z dnia 18 grudnia 2025 r.

Ceny leków z listy aptecznej w przeliczeniu na miligram zostały zaktualizowane względem danych refundacyjnych DGL obowiązujących do listopada 2025 roku.

Koszt midostauryny w ramach programu lekowego B.115 został zaktualizowany na podstawie danych zawartych w Statystykach NFZ za 2024 r.

Wyceny określone w zarządzeniu dotyczącym świadczeń szpitalnych, leczenia ambulatoryjnego i świadczeń w ramach programów lekowych zostały zaktualizowane względem aktualnych Zarządzeń MZ.

Próg opłacalności został zaktualizowany względem obwieszczenia Prezesa Głównego Urzędu Statystycznego z dnia 30 października 2025 r. w sprawie szacunków wartości produktu krajowego brutto na jednego mieszkańca w latach 2021–2023.

Tablice trwania życia Głównego Urzędu Statystycznego zostały zaktualizowane względem danych z 2024 r.

W Analizie problemu decyzyjnego dokonano także aktualizacji wyszukiwania rekomendacji finansowych dla produktu leczniczego Ayvakyt®.

