

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OTAP.4131.1.2026 Amvuttra
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Amvuttra (wutrisyran) we wskazaniu: leczenie dorosłych z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej z niewydolnością serca w klasach czynnościowych I-III NYHA, 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)

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 Holcman



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.

Honoraria wykładowe i za udział w gremiach doradczych i/lub badaniach klinicznych leków od Pfizer, Bayer, IONIS, Alnylam, Medison, Astra Z, Alexion, Sobi.

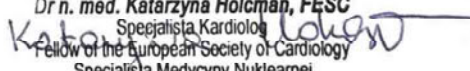
W przypadku zaznaczenia przez osoby inne niż kandydaci na członków Rady Przejrzystości i członkowie Rady Przejrzystości, że zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy, należy poniżej opisać powiązania branżowe, w szczególności przez wskazanie podmiotu, z którym istnieje powiązanie branżowe, osoby wskazanej w deklaracji, której dotyczy powiązanie branżowe, zakresu występującego powiązania branżowego.

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

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Kraków 03.06.2026

Dr n. med. Katarzyna Holcman, FESC
Specjalista Kardiologii
Fellow of the European Society of Cardiology
Specjalista Medycyny Nuklearnej
Numer PWZ: 2950981



.....
(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
	W pełni popieram objęcie refundacją leku Amvuttra (wutrisyran) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) z niewydolnością serca w klasach NYHA I–III. 1. Wutrisyran stanowi terapię o odmiennym i komplementarnym mechanizmie działania względem obecnie refundowanego tafamidisu Obecnie jedyną refundowaną terapią przyczynową ATTR-CM w Polsce jest tafamidis, będący stabilizatorem tetrameru transtyretyny. Wutrisyran reprezentuje zupełnie odmienną klasę terapeutyczną – terapię opartą na technologii RNA interference (RNAi), prowadzącą do zahamowania wątrobowej produkcji transtyretyny i głębokiego obniżenia stężenia zarówno zmutowanej, jak i natywnej TTR. W praktyce klinicznej dostęp do terapii działających na różnych etapach patogenezы choroby stanowi standard postępowania w wielu przewlekłych schorzeniach kardiologicznych. Refundacja wutrisyranu umożliwiłaby indywidualizację leczenia oraz zapewnienie pacjentom dostępu do terapii o odmiennym mechanizmie działania, szczególnie w przypadkach szybkiej progresji choroby lub niezadowalającej odpowiedzi klinicznej na leczenie stabilizatorem TTR. 2. Wutrisyran jest terapią o udowodnionej skuteczności nie tylko w ATTR-CM, ale również w dziedzicznej amyloidozie transtyretynowej z polineuropatią Należy podkreślić, że wutrisyran jest już refundowany w Polsce w leczeniu pacjentów z dziedziczną amyloidozą transtyretynową z polineuropatią. Refundacja w tym wskazaniu opierała się na wysokiej skuteczności klinicznej leku i jego zdolności do zahamowania procesu chorobowego. Jest to szczególnie istotne w kontekście ATTRv-CM, ponieważ wielu pacjentów z amyloidozą transtyretynową prezentuje jednocześnie objawy zajęcia serca i układu nerwowego. Wutrisyran jest obecnie jedyną terapią pozwalającą na jednoczesne oddziaływanie na oba najważniejsze fenotypy choroby. Takie podejście może przynieść wymierne korzyści kliniczne oraz organizacyjne, ograniczając konieczność stosowania różnych terapii ukierunkowanych na odmienne manifestacje tej samej choroby. 3. Wyniki badania HELIOS-B uzasadniają leczenie pacjentów w klasie NYHA III W badaniu HELIOS-B uczestniczyli również pacjenci z niewydolnością serca w klasie NYHA III, a analiza nie wykazała sygnałów świadczących o

braku skuteczności lub niekorzystnym profilu bezpieczeństwa terapii w tej grupie. Pacjenci w klasie NYHA III należą do grupy najwyższego ryzyka progresji choroby, hospitalizacji oraz zgonu. Wykluczenie ich z możliwości leczenia prowadziłoby do sytuacji, w której najbardziej obciążeni chorobą pacjenci byłiby pozbawieni dostępu do jedynej terapii RNAi posiadającej wskazanie rejestracyjne w ATTR-CM. W świetle dostępnych danych klinicznych utrzymanie możliwości leczenia pacjentów w klasie NYHA III jest w pełni uzasadnione.

4. Zasadne jest usunięcie kryterium wykluczającego pacjentów po przeszczepieniu serca lub wątroby

Proponowane kryterium wykluczenia pacjentów po przeszczepieniu serca lub wątroby nie znajduje jednoznacznego uzasadnienia klinicznego. W przypadku pacjentów po przeszczepieniu serca nadal może dochodzić do odkładania amyloidu w innych tkankach i narządach, a choroba podstawowa nie zostaje całkowicie wyeliminowana. Dodatkowo liczba takich pacjentów jest niewielka, co przemawia za indywidualizacją decyzji terapeutycznych, a nie za automatycznym wykluczeniem całej grupy chorych. W takiej sytuacji bardziej racjonalnym rozwiązaniem wydaje się pozostawienie decyzji zespołowi prowadzącemu leczenie w ośrodku referencyjnym niż wprowadzanie sztywnego kryterium wykluczenia.

5. Rozszerzenie programu lekowego zwiększy dostępność skutecznego leczenia choroby rzadkiej o bardzo złym rokowaniu

Amyloidozę transtyretynową serca pozostaje chorobą rzadką, ciężką i postępującą, prowadzącą do niewydolności serca, częstych hospitalizacji i przedwczesnego zgonu. W badaniu HELIOS-B wykazano istotne zmniejszenie ryzyka zgonu oraz zdarzeń sercowo-naczyniowych, poprawę jakości życia i wydolności fizycznej pacjentów leczonych wutrisyranem. Uwzględniając odmienny mechanizm działania, udokumentowaną skuteczność w ATTR-CM oraz wcześniejsze potwierdzenie skuteczności w leczeniu polineuropatii ATTRv, objęcie refundacją leku Amvuttra w ramach programu lekowego B.162 należy uznać za w pełni uzasadnione z klinicznego punktu widzenia.

6. Wymóg stosowania wutrisyranu wyłącznie w monoterapii nie znajduje wystarczającego uzasadnienia naukowego

Proponowany zapis programu lekowego ograniczający stosowanie wutrisyranu wyłącznie do monoterapii nie jest obecnie poparty jednoznacznymi dowodami naukowymi ani konsensusem ekspertów klinicznych. Badanie HELIOS-B, stanowiące podstawę rejestracji leku we wskazaniu ATTR-CM, dopuszczało równoczesne stosowanie tafamidisu. Co istotne, nie zaobserwowano sygnałów bezpieczeństwa wskazujących na niekorzystny wpływ takiego postępowania. Należy podkreślić, że mechanizmy działania obu terapii są odmienne i potencjalnie komplementarne. Tafamidis stabilizuje krążącą transtyretynę, natomiast wutrisyran zmniejsza jej produkcję. Z biologicznego punktu widzenia nie

	ma przesłanek przemawiających za wzajemnym wykluczaniem się tych metod leczenia. W sytuacji braku dowodów naukowych przemawiających za wyłącznością monoterapii bardziej zasadne wydaje się pozostawienie decyzji terapeutycznej lekarzowi prowadzącemu oraz zespołowi ośrodka referencyjnego, z uwzględnieniem indywidualnej sytuacji klinicznej pacjenta.
--	---

* 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 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.