

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OTOW.4131.2.2026
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją Brineura, cerliponasum alfa, roztwór do infuzji, 150 mg/5 ml, 2 fiol., GTIN: 05391524461541 we wskazaniu wynikającym ze złożonego wniosku i treści ustalonego programu lekowego: „Leczenie pacjentów z lipofuscynozą neuronalną typu 2 (ICD-10: E75.4)”

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 2025 r. poz. 366 z późn. zm.). 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 2025 r. poz. 1703 z późn. zm.).

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. 2026 r., poz. 253)

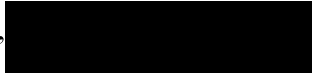
² zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461 z późn. zm.)

DEKLARACJA O POWIĄZANIACH BRANŻOWYCH

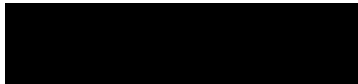
A. Dane osoby składającej deklarację oraz osób z nią związanych

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:

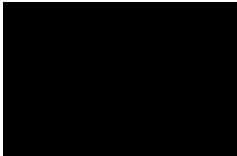
Beata, Krystyna Maciaszkiewicz,



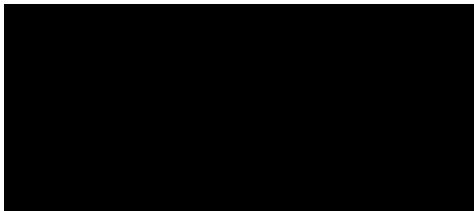
2. Imię (imiona) i nazwisko małżonki/małżonka osoby składającej deklarację:



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:

Tomasz Maciaszkiewicz, PESEL: 79121401092

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:

X 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.

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.

23.06.2026 Hamburg

(data i miejscowość złożenia deklaracji)

Beata Maciaszkiewicz

(podpis osoby składającej deklarację)

2. Część II – Uwagi

1) Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	Szanowni Państwo, jesteśmy rodzicami 16-letniej córki chorej na ceroidolipofuscynozę neuronalną typu 2 (CLN2, NCL2). Nasza córka jest leczona preparatem Brineura od 2014 roku w ośrodku specjalistycznym w Hamburgu. Dzięki temu mamy niemal 12-letnie doświadczenie związane z tą terapią i chcielibyśmy przedstawić perspektywę rodziny, która na co dzień żyje z tą niezwykle ciężką chorobą. Rozpoznanie CLN2 było dla naszej rodziny ogromnym dramatem. Jest to choroba, która nie dotyka wyłącznie dziecka, ale całej rodziny. Otrzymując diagnozę, dowiadujemy się, że nasze dziecko, które urodziło się zdrowe, będzie stopniowo traciło kolejne umiejętności – zdolność mówienia, chodzenia, widzenia, samodzielnego jedzenia, a choroba ostatecznie doprowadzi do przedwczesnej śmierci. Naturalny przebieg CLN2 jest bezwzględny. Bez leczenia większość dzieci umiera w wieku około 8–10 lat. Nasza córka ma obecnie 16 lat. Oczywiście wymaga stałej opieki i wsparcia, jednak dzięki leczeniu otrzymaliśmy coś bezcennego – dodatkowe lata życia naszej córki, ale przede wszystkim lata życia o znacznie lepszej jakości. Leczenie dało nam czas, który nie był wyłącznie czasem bólu, cierpienia i utraty kolejnych funkcji, lecz czasem wspólnego życia jako rodzina. W momencie, gdy pojawiły się pierwsze objawy choroby, w Polsce nie było możliwości leczenia naszej córki. Aby ratować dziecko, musieliśmy podjąć jedną z najtrudniejszych decyzji w życiu i wyjechać za granicę. Zostawiliśmy rodzinę, przyjaciół, pracę i całe dotychczasowe życie. Nie była to emigracja zarobkowa, lecz emigracja zdrowotna. Wyjechaliśmy wyłącznie dlatego, że nasze dziecko potrzebowało leczenia, którego nie mogliśmy otrzymać w Polsce. Ta decyzja wpłynęła na całą rodzinę. Nasze pozostałe dzieci również musiały odnaleźć się w nowej rzeczywistości, nauczyć się języka i budować swoje życie od początku. Początki były niezwykle trudne. Znaleźliśmy się w obcym kraju, bez wsparcia bliskich, z ciężko chorym dzieckiem wymagającym nieustannej opieki. Wiemy, że takich rodzin jest więcej. Wielu polskich rodziców dzieci z CLN2 zostało zmuszonych do wyjazdu za granicę, aby ratować swoje dzieci. Są to ludzie wykształceni, aktywni zawodowo, którzy chcieliby żyć i pracować w Polsce, płacić tutaj podatki i wychowywać swoje dzieci wśród bliskich. Zamiast tego zostali zmuszeni do rozpoczęcia życia od nowa w obcym kraju. Przed rozpoczęciem leczenia nasze życie było podporządkowane chorobie. Nasza córka cierpiała z powodu ciężkich napadów padaczkowych, często kończących się stanem padaczkowym i koniecznością wezwania pogotowia ratunkowego. Występowały poważne problemy ze snem, niepokój, płacz i cierpienie. Żyliśmy w ciągłym lęku o jej zdrowie i życie. Naszą codziennością były wizyty u lekarzy, pobyty w szpitalach i rehabilitacja. Każdy dzień przynosił obawę o to, co wydarzy się jutro. Po rozpoczęciu leczenia Brineurą nastąpiła ogromna zmiana. Choroba w znacznym stopniu spowolniła swój przebieg. Nasza córka jest dziś spokojna,

pogodna i uśmiechnięta. Śpi bardzo dobrze. Od wielu lat praktycznie nie występują u niej ciężkie napady padaczkowe, które wcześniej stanowiły jedno z największych zagrożeń dla jej zdrowia i życia.

Co szczególnie ważne, nasza córka nadal mówi kilka słów, rozumie, co się do niej mówi, reaguje na polecenia oraz na kontakt z bliskimi. Uczęszcza do szkoły i czerpie radość z kontaktów z innymi dziećmi. Nadal przyjmuje pokarmy doustnie. Dla wielu osób mogą wydawać się to drobne rzeczy, ale dla rodziców dziecka z CLN2 są to ogromne osiągnięcia i dowód na wartość leczenia.

Leczenie nie przywróciło zdrowia. Nie zatrzymało całkowicie choroby. Jednak pozwoliło zachować funkcje, które bez terapii zostałyby utracone wiele lat temu. Dało naszej córce możliwość dalszego uczestniczenia w życiu rodzinnym, szkolnym i społecznym oraz pozwoliło jej cieszyć się życiem pomimo ciężkiej, nieuleczalnej choroby.

Zmieniło się również życie całej naszej rodziny. Mamy jeszcze dwoje zdrowych dzieci i staramy się funkcjonować jak najbardziej normalnie. Dzięki leczeniu odzyskałyśmy stabilizację. Dziś nasze kontakty ze szpitalem to przede wszystkim planowe wizyty co dwa tygodnie związane z podaniem leku oraz okresowe badania kontrolne, takie jak EEG czy inne badania monitorujące stan zdrowia córki. To zupełnie inna rzeczywistość niż ciągłe wezwania karetek, nagłe hospitalizacje i życie w permanentnym kryzysie.

Chcielibyśmy również zwrócić uwagę na kwestie związane z kwalifikacją do leczenia i ewentualnymi kryteriami jego zakończenia. Z perspektywy rodzica CLN2 jest chorobą niezwykle nieprzewidywalną. Każde dziecko choruje inaczej. Zdarza się, że po ciężkim napadzie padaczkowym dziecko czasowo traci pewne funkcje, a następnie część z nich odzyskuje. Nie wszystkie korzyści z leczenia można zmierzyć za pomocą sztywnych skal i punktacji.

Uważamy, że dostęp do leczenia nie powinien być uzależniony wyłącznie od spełniania określonych kryteriów funkcjonalnych. Wartość terapii to nie tylko liczba wypowiedzianych słów czy wykonanych kroków. To również ograniczenie cierpienia, kontrola napadów padaczkowych, spokojny sen, możliwość kontaktu z rodziną, uczestnictwo w życiu społecznym i zachowanie godności oraz możliwie najlepszej jakości życia.

Szczególnie trudno byłoby zaakceptować sytuację, w której dziecko traci dostęp do leczenia wyłącznie dlatego, że na skutek postępu choroby przestało spełniać określone kryterium administracyjne. W naszej opinii decyzja o kontynuacji leczenia powinna być podejmowana indywidualnie, z uwzględnieniem opinii lekarzy prowadzących oraz rodziców, którzy najlepiej znają dziecko i codziennie obserwują efekty terapii.

Żaden kochający rodzic nie będzie chciał kontynuować leczenia, które przynosi dziecku wyłącznie cierpienie i nie daje żadnych korzyści. Jednak decyzja o zakończeniu terapii należy do najtrudniejszych decyzji, jakie mogą spotkać rodziców ciężko chorego dziecka. Nie powinna ona wynikać wyłącznie z administracyjnie ustalonych kryteriów.

Chcielibyśmy również zwrócić uwagę na jeszcze jeden niezwykle ważny aspekt. Każde dziecko chore na CLN2 powinno mieć możliwość leczenia w Polsce, blisko swojej rodziny, przyjaciół i naturalnego środowiska życia. Żadna rodzina nie powinna być zmuszana do opuszczania swojego kraju wyłącznie dlatego, że tylko za granicą dostępne jest leczenie ratujące zdrowie i życie dziecka.

	Nasza rodzina, podobnie jak wiele innych polskich rodzin dotkniętych CLN2, została zmuszona do emigracji zdrowotnej. Była to decyzja podjęta z konieczności, a nie z wyboru. Wiązała się z rozłąką z najbliższymi, utratą poczucia bezpieczeństwa, koniecznością budowania życia od nowa i ogromnym obciążeniem emocjonalnym dla wszystkich członków rodziny. Wierzymy, że polskie dzieci chore na CLN2 powinny mieć dostęp do nowoczesnego leczenia we własnym kraju, a rodziny, które zostały zmuszone do wyjazdu za granicę, powinny mieć realną możliwość powrotu do Polski bez obawy o utratę dostępu do terapii. Leczenie powinno łączyć rodziny, a nie zmuszać je do rozłąki i emigracji. Mamy nadzieję, że podejmowane dziś decyzje pozwolą obecnym i przyszłym pacjentom z CLN2 oraz ich rodzinom przechodzić przez tę niezwykle trudną chorobę w Polsce, wśród swoich bliskich, z poczuciem bezpieczeństwa i wsparcia własnego państwa. Dlatego zwracamy się z gorącą prośbą o zapewnienie dostępu do leczenia Brineurą wszystkim pacjentom z CLN2, oraz o uwzględnienie doświadczeń rodzin żyjących z tą chorobą przy podejmowaniu decyzji refundacyjnych. Z wyrazami szacunku Rodzice dziecka chorego na CLN2

* 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 2025 r., poz. 1461 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 1461 z późn. zm.);
- 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 2025 r., poz. 1461 z późn. zm.);
- 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 2025 r., poz. 1461 z późn. zm.);

- 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 2025 r., poz. 1461 z późn. zm.);
- 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.