

**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:

Daniel Jagielski

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.

Nie dotyczy

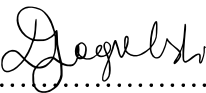
W przypadku zaznaczenia przez osoby inne niż kandydaci na członków Rady Przejrzystości i członkowie Rady Przejrzystości, że zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy, należy poniżej opisać powiązania branżowe, w szczególności przez wskazanie podmiotu, z którym istnieje powiązanie branżowe,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

Nie dotyczy

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

.....25.06.2026, Kraków.....

(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
	Jako rodzice dziecka chorującego na CLN2 chcielibyśmy podkreślić, że decyzja o dostępności terapii cerliponazą alfa w Polsce nie jest dla nas kwestią wyłącznie formalną, administracyjną czy ekonomiczną. Jest to decyzja, która bezpośrednio wpływa na życie dziecka, jego szanse rozwojowe, bezpieczeństwo medyczne oraz funkcjonowanie całej rodziny. Nasza córka została zdiagnozowana bardzo wcześnie, w wieku około 3,5 roku, kiedy nadal była dzieckiem funkcjonującym, komunikującym się, chodzącym i mającym realną szansę na zachowanie jak największej części swoich umiejętności. W przypadku choroby CLN2 czas ma fundamentalne znaczenie. Każdy miesiąc opóźnienia w dostępie do leczenia może oznaczać utratę funkcji, których później nie da się już odzyskać. Dlatego dostęp do terapii powinien być możliwy jak najwcześniej po potwierdzeniu rozpoznania, bez nadmiernych barier administracyjnych. Z powodu braku realnie dostępnej refundacji leczenia w Polsce nasza rodzina została zmuszona do zorganizowania leczenia za granicą. W praktyce oznaczało to konieczność wyjazdu naszej córki i jej mamy do Niemiec, rejestracji w tamtejszym systemie ubezpieczenia zdrowotnego oraz całkowitego przeorganizowania życia rodzinnego. Żona musiała zrezygnować z pracy, aby móc na stałe opiekować się córką i zapewnić jej dostęp do leczenia. Ojciec prowadzi firmę w Polsce, co powoduje, że rodzina funkcjonuje w dużej mierze w rozdzieleniu pomiędzy Polską a Niemcami. Taka sytuacja generuje ogromne obciążenie emocjonalne, organizacyjne i finansowe. Koszty wynajmu mieszkania w Hamburgu są bardzo wysokie, szczególnie z uwagi na ograniczoną dostępność mieszkań i konieczność mieszkania w pobliżu ośrodka prowadzącego leczenie. Środki te, gdyby leczenie było dostępne w Polsce, mogłyby zostać przeznaczone na rehabilitację, terapię logopedyczną, zajęcia wspierające rozwój, fizjoterapię, opiekę psychologiczną oraz inne formy pomocy, które mają ogromne znaczenie w chorobie neurodegeneracyjnej. Chcielibyśmy również zwrócić uwagę, że leczenie za granicą nie rozwiązuje wszystkich potrzeb dziecka. Nasza córka w Niemczech nie ma pełnego dostępu do opieki logopedycznej prowadzonej w jej ojczystym języku. W chorobie CLN2, w której zagrożone są mowa, komunikacja i funkcje poznawcze, terapia w języku dziecka ma szczególne znaczenie. Brak takiego wsparcia może negatywnie wpływać na jej rozwój i codzienne funkcjonowanie. Dodatkowo córka nie ma naturalnego kontaktu z rówieśnikami mówiącymi w tym samym języku, co ogranicza jej możliwości komunikacyjne, społeczne i emocjonalne.

Z perspektywy rodziny pacjenta leczenie Brineurą powinno być dostępne w Polsce w sposób szybki, przewidywalny i zorganizowany wokół potrzeb dziecka. Nie powinno wymagać emigracji medycznej, rozdzielenia rodziny, rezygnacji jednego z rodziców z pracy oraz ponoszenia wieloletnich kosztów życia za granicą. System powinien wspierać rodzinę w leczeniu dziecka, a nie zmuszać ją do przenoszenia całego życia do innego kraju.

Odnosząc się ogólnie do warunków kwalifikacji i wyłączenia z programu, uważamy, że kryteria włączenia powinny być możliwie szerokie i oparte przede wszystkim na potwierdzonym rozpoznaniu CLN2 oraz braku przeciwwskazań medycznych. Leczenie powinno być rozpoczynane jak najwcześniej, zanim dojdzie do nieodwracalnej utraty funkcji neurologicznych. Nie powinno się tworzyć kryteriów, które w praktyce premiąją oczekiwanie na pogorszenie stanu dziecka albo wykluczają pacjentów na podstawie zbyt wąsko rozumianych parametrów.

Szczegółowej ostrożności wymagają kryteria wyłączenia z terapii.

Brineura jest leczeniem spowalniającym postęp choroby, a nie terapią cofającą wszystkie objawy. Dlatego ocena skuteczności nie powinna być oparta wyłącznie na mechanicznym spadku punktacji w jednej skali. W naszej ocenie należy brać pod uwagę całościowy stan dziecka: tempo progresji choroby, stabilizację funkcji, napady padaczkowe, komunikację, komfort życia, możliwość rehabilitacji, funkcjonowanie rodziny oraz opinię lekarzy prowadzących.

Automatyczne przerywanie terapii u dziecka, które nadal może odnosić z niej korzyść, byłoby dla rodzin bardzo trudne do zaakceptowania.

Obawiamy się szczególnie sytuacji, w której dziecko rozpoczyna leczenie, rodzina podporządkowuje temu całe życie, a następnie terapia mogłaby zostać przerwana na podstawie nieprecyzyjnych lub zbyt sztywnych kryteriów. W chorobie tak ciężkiej i ultraradkiej decyzje o kontynuacji leczenia powinny być podejmowane indywidualnie, z udziałem doświadczonych lekarzy, rodziny oraz zespołu znającego przebieg choroby danego dziecka.

Oczekiwaliśmy, aby w Polsce leczenie CLN2 było prowadzone w modelu kompleksowej opieki, obejmującej nie tylko samą infuzję leku, ale również rehabilitację, neurologię, neurochirurgię, logopedię, psychologię, fizjoterapię oraz wsparcie socjalne i edukacyjne. Dostęp do leku jest najważniejszy, ale nie jest jedyną potrzebą dziecka. Dla pacjentów z CLN2 kluczowe jest połączenie leczenia przyczynowego z intensywnym wspieraniem rozwoju i jakości życia.

Naszym zdaniem refundacja Brineury w Polsce jest konieczna, ponieważ brak dostępu do tej terapii prowadzi do nierówności, zmusza rodziny do leczenia za granicą i powoduje ogromne koszty pośrednie, których nie widać wyłącznie w analizie ceny leku. Dla naszej rodziny oznaczało to rezygnację z pracy przez jednego z rodziców, rozdzielenie życia rodzinnego między dwa kraje, wysokie koszty utrzymania w Niemczech oraz ograniczony dostęp córki do terapii i kontaktów społecznych w jej własnym języku.

	Apelujemy, aby przy podejmowaniu decyzji uwzględnić nie tylko koszt samego leku, ale również rzeczywiste konsekwencje braku jego dostępności w Polsce: utratę szans rozwojowych dziecka, dramatyczne obciążenie rodzin, konieczność emigracji medycznej oraz koszty społeczne i finansowe wynikające z braku leczenia. Dzieci z CLN2 powinny mieć możliwość leczenia w Polsce, blisko swojego domu, języka, rodziny i środowiska, w którym mogą być najlepiej wspierane.

* 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.