



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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OTAP.4131.8.2026 Aspaveli
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją leku Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach nowego programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplelowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC-MPGN) (ICD-10: N03.5, N05.5)”

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

AGENCJA
OCENY TECHNOLOGII MEDYCZNYCH
I TARYFIKACJI

03 -09- 2026

Sekretariat Główny

lp. z kontr.wpt.

liczba zał.

6381

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:

Sara Scheller-Kabicz, [REDACTED]

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

[REDACTED]

3. Imię (imiona) i nazwisko wstępnego/wstępnych w linii prostej osoby składającej deklarację:

[REDACTED]

4. Imię (imiona) i nazwisko zstępnego/zstępnych w linii prostej osoby składającej deklarację:

[REDACTED]

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;

- x 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.

[REDACTED]

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

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.

01.09.2026 Warszawa.....

(data i miejscowość złożenia deklaracji)



(podpis osoby składającej deklarację)

2. Część II – Uwagi

a. Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Rozdział 4.1.1.2 „Ocena badań”, str. 24; rozdział 4.2.1.1 „RCT VALIANT”, str. 28–29; rozdział 8, tabela 17, str. 48–49.	W tabeli 17, w opisie stanowiska G-BA, wskazano na brak istotnej statystycznie różnicy w zakresie eGFR oraz wysokie ryzyko błędu systematycznego badania VALIANT. Dla zachowania jednoznaczności interpretacji warto doprecyzować, że stanowisko G-BA odnosiło się do ocenianych odrębnie populacji C3G i pierwotnego IC-MPGN oraz analiz wynikających z podziału populacji badania. W rozdziale 4.1.1.2 AWA przytoczono natomiast ocenę wnioskodawcy przeprowadzoną według narzędzia Cochrane RoB 2 dla całego badania VALIANT, zgodnie z którą badanie było obarczone „pewnymi zastrzeżeniami” (some concerns), a nie wysokim ryzykiem błędu systematycznego. W całej populacji ITT oszacowana różnica zmiany eGFR wyniosła 6,3 ml/min/1,73 m² na korzyść pegcetakoplanu, przy 95-procentowym przedziale ufności wynoszącym 0,5–12,1 ml/min/1,73 m². Ze względu na hierarchiczną procedurę testowania wynik dotyczący eGFR nie został jednak poddany formalnemu testowaniu i powinien być traktowany jako wynik wspierający. Powyższe rozróżnienie pozwala wyjaśnić pozorną niespójność pomiędzy opisem wyników całej populacji ITT na str. 28 a przytoczonym w tabeli 17 stanowiskiem G-BA odnoszącym się do odrębnie analizowanych populacji.
Rozdział 2 „Kluczowe informacje i wnioski – Ograniczenia analizy”, str. 10; rozdział 4.1.1.3 „Ocena syntezy wyników – Komentarz analityków Agencji”, str. 25.	Obecnie nie są dostępne długoterminowe badania kontrolowane pozwalające na bezpośrednią ocenę wpływu pegcetakoplanu na schyłkową niewydolność nerek, dializoterapię, utratę przeszczepu lub śmiertelność. Z tego względu ocenę skuteczności oparto przede wszystkim na wynikach randomizowanego badania VALIANT, w którym wykazano istotną redukcję białkomoczu oraz większe prawdopodobieństwo uzyskania złożonej odpowiedzi nerkowej. Wynik dotyczący eGFR był korzystny dla pegcetakoplanu, ale ze względu na hierarchię testowania należy traktować go jako wspierający. W odpowiedzi na wymagania minimalne zaktualizowano wyszukiwanie do 31 lipca 2026 r. i

	uzupełniono analizę m.in. o pełną publikację VALIANT, dane z otwartej fazy przedłużonej, roczną obserwację w subpopulacji młodzieży oraz wieloośrodkowe dane z rzeczywistej praktyki klinicznej. Wyniki te są spójne z rezultatami okresu randomizowanego i wspierają ocenę utrzymywania się efektu w zakresie białkomoczu i funkcji nerek, choć nie zastępują długoterminowych danych kontrolowanych dotyczących twardych punktów końcowych. Niepewność dotyczy zatem przede wszystkim wielkości i trwałości przełożenia obserwowanych efektów nerkowych na odległe wyniki kliniczne. Została ona uwzględniona przy interpretacji wyników i nie oznacza braku dowodów na efekt kliniczny pegcetakoplanu w okresie objętym dostępnymi badaniami.
Rozdział 2 „Rekomendacje refundacyjne dotyczące ocenianej technologii medycznej”, str. 11–12; rozdział 8 „Przegląd rekomendacji refundacyjnych”, str. 47; tabela 17, str. 50.	Dla uniknięcia niejednoznacznej interpretacji proponuje się konsekwentne określanie dokumentu NICE jako „projektu rekomendacji negatywnej”. W tabeli 17 zastosowano nagłówek „Rekomendacja negatywna”, natomiast dopiero w dalszej części wskazano, że dokument stanowi wstępną, upublicznią wersję stanowiska NICE. Wnioskodawca zwraca uwagę, że dokument ten nie stanowi ostatecznej rekomendacji, a proces oceny pozostaje w toku. W projekcie NICE uznano korzystny wpływ pegcetakoplanu na redukcję białkomoczu i spowolnienie pogarszania funkcji nerek. Jednocześnie wskazano niepewność dotyczącą długoterminowego przełożenia tych efektów oraz założeń modelu ekonomicznego, która nie pozwoliła na potwierdzenie kosztowej efektywności terapii przy przyjętych założeniach. Wstępne stanowisko negatywne nie wynikało zatem ze stwierdzenia braku efektu klinicznego pegcetakoplanu, lecz z niepewności dotyczącej jego długoterminowych konsekwencji i efektywności kosztowej. Konsekwentne określanie dokumentu jako projektu rekomendacji negatywnej pozwoli właściwie przedstawić zarówno jego aktualny status, jak i podstawy stanowiska NICE.
Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część „Ograniczenia analizy według	Model bazowy został dostosowany do warunków polskich w zakresie elementów istotnych z perspektywy płatnika publicznego, w tym kosztów leków, świadczeń, diagnostyki i monitorowania,

analitików Agencji”; akapit rozpoczynający się od słów: „Przedstawiony model zasadniczo odnosi się do praktyki klinicznej rynku brytyjskiego”. str. 39/55,	parametrów refundacyjnych, tablic trwania życia oraz organizacji programu lekowego. Charakterystykę populacji i względny efekt leczenia oparto na danych z badania VALIANT. [REDACTED] Publikacja Dębska-Ślizień 2025 opisuje leczenie nerkozastępcze w szerokiej populacji pacjentów w Polsce, a nie w populacji odpowiadającej kryteriom programu lekowego. Z tego względu stanowi wartościowe źródło walidacji lokalnej, natomiast jej bezpośrednie zastosowanie wymaga przyjęcia dodatkowych założeń dotyczących porównywalności populacji i przebiegu choroby. Analitycy Agencji wykorzystali dane z tej publikacji w obliczeniach własnych, jednocześnie modyfikując inne parametry kliniczne i kosztowe. Łączne wprowadzenie zmian miało niewielki wpływ na efekt inkrementalny i nie zmieniło kierunku wnioskovania. Nie pozwala to wyodrębnić wpływu samej publikacji Dębska-Ślizień 2025, ale wskazuje na stabilność wyników po zastosowaniu alternatywnego zestawu parametrów uwzględniającego dodatkowe dane polskie.
„Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część „Ograniczenia analizy według analitików Agencji”. str. 39–40/55, rozdział 5.3.1	Wskazane kwestie nie zmieniają ogólnej oceny zasadniczej struktury modelu, techniki analitycznej, komparatora, perspektywy ani horyzontu czasowego, które Agencja oceniła jako prawidłowe. Agencja uznała również analizę wrażliwości za prawidłową, a jej wyniki za stabilne. Przeprowadzone przez analitików Agencji obliczenia własne, obejmujące jednoczesną modyfikację szeregu parametrów klinicznych i kosztowych, doprowadziły do wyników zbliżonych do oszacowań wnioskodawcy. Wartość inkrementalnego efektu zdrowotnego zmieniła się z [REDACTED] Kierunek wnioskovania nie uległ zmianie. Wyniki te wskazują, że zidentyfikowane rozbieżności mają bardzo ograniczony wpływ ilościowy i nie zmieniają zasadniczych wniosków analizy ekonomicznej.
Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część	Wnioskodawca pragnie wyjaśnić, że model nie zakłada, iż uniknięcie transplantacji oznacza pozostanie pacjenta na dializoterapii ani że

„Ograniczenia analizy według analityków Agencji”; akapit rozpoczynający się od słów: „Wnioskodawca przyjął założenie [...] że wykorzystane dane brytyjskie obejmują efekty zdrowotne”. str. 39/55	dializoterapia wiąże się z większą użytecznością niż stan po skutecznym przeszczepieniu nerki. Bezpośrednia korzyść pegcetakoplanu wynika ze spowolnienia progresji choroby, wydłużenia czasu pozostawania w mniej zaawansowanych stadiach PChN oraz opóźnienia konieczności leczenia nerkozastępczego. Należy ją odróżnić od potencjalnej korzyści systemowej wynikającej z możliwości wykorzystania niewykorzystanego narządu u innego biorcy. Korzyść ta dotyczy alternatywnego biorcy, a nie pacjenta leczonego pegcetakoplanem. W analizie podstawowej uwzględniono efekty zdrowotne i koszty wszystkich stanów modelu, w tym stanu po przeszczepieniu nerki. Dodatkową korzyść z alternatywnego wykorzystania narządu oceniono wyłącznie scenariuszowo, dzięki czemu nie stanowiła ona podstawy głównego oszacowania i nie dochodziło do jej podwójnego naliczenia. Analizy scenariuszowe wskazują, że założenia dotyczące transplantacji są istotnym źródłem niepewności, jednak nie zmieniają kierunku wnioskowania.
Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część „Ograniczenia analizy według analityków Agencji”; akapit dotyczący dwóch wersji graficznego przedstawienia struktury modelu. str. 39/55,	Dwie wersje graficznego przedstawienia struktury modelu opisują ten sam mechanizm, lecz na różnym poziomie szczegółowości. Sformułowanie „remisja możliwa w każdym stanie” wskazuje, że możliwość jej uzyskania nie została ograniczona do określonego stadium PChN. Natomiast określenie „remisja możliwa przy UPCR >1,0 g/g” odnosi się do wyjściowego poziomu białkomoczu, od którego modelowane jest osiągnięcie remisji lub stabilizacji. Sformułowania te nie są zatem sprzeczne: pierwsze opisuje stany choroby, z których możliwe jest przejście, a drugie – warunek kliniczny uwzględniany przy jego modelowaniu. W modelu elektronicznym przejścia są wyznaczane na podstawie jednolite zastosowanych prawdopodobieństw oraz kryteriów UPCR, natomiast oba schematy pełnią funkcję poglądową. Odmienny poziom szczegółowości prezentacji nie oznacza zastosowania dwóch alternatywnych struktur obliczeniowych i nie wpływa na wyniki analizy.

Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część „Ograniczenia analizy według analityków Agencji”; str. 40/55, akapit dotyczący prednizonu i prednizolonu.	W danych z badania VALIANT odsetek pacjentów stosujących glikokortykosteroidy systemowe obejmował łącznie osoby przyjmujące prednizon lub prednizolon. W oszacowaniu kosztów zastosowano koszt prednizolonu ze względu na zbliżone koszty jednostkowe obu substancji. Podejście to nie oznacza pominięcia kosztów glikokortykosteroidów, lecz uproszczone oszacowanie kosztu tej kategorii leczenia. Wpływ przyjętego podejścia został objęty analizą wrażliwości. [REDACTED] a więc znacznie szerszym niż potencjalna różnica wynikająca z zastosowania kosztu prednizolonu, prednizonu albo kosztu ważonego obu substancji. [REDACTED] Analitycy Agencji w obliczeniach własnych uwzględnili obie substancje odrębnie, zgodnie z ich udziałami w badaniu VALIANT. Łączne wprowadzenie tej oraz pozostałych modyfikacji nie zmieniło kierunku wnioskowania. Przyjęte uproszczenie ma zatem bardzo niewielki, pomijalny wpływ na wyniki AE i BIA, a niepewność dotycząca sposobu kalkulacji kosztu glikokortykosteroidów została objęta zakresem przeprowadzonych analiz wrażliwości.
Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część „Ograniczenia analizy według analityków Agencji”; str. 40/55, akapity dotyczące kosztów wdrożenia RSS, szczepień, szkoleń i pompy infuzyjnej.	Wnioskodawca pragnie wyjaśnić, że [REDACTED] W wariantcie bez RSS nie zidentyfikowano odrębnego, jednoznacznie wycenionego kosztu po

	stronie NFZ ponad świadczenia związane z realizacją programu lekowego. [REDACTED] [REDACTED] Uwzględnienie przez analityków Agencji [REDACTED] [REDACTED] Ze względu na niewielką liczebność populacji docelowej oraz dominujący udział kosztu leku pozycje te mają ograniczony wpływ na całkowite wyniki analizy i stanowią przede wszystkim źródło niepewności dotyczącej sposobu organizacji świadczeń. Odwołanie do oszczędności świadczeniodawcy miało wyłącznie wyjaśniać organizacyjny skutek zapewnienia [REDACTED] [REDACTED] Oszczędności tej nie wyceniano jako dodatkowej korzyści i nie stanowiła ona podstawy wyników AE ani BIA. Z perspektywy systemowej RSS przenosi poza system publiczny koszty nabycia wskazanych produktów, ale nie eliminuje kosztów kwalifikacji pacjenta i podania szczepionki.
Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część „Ograniczenia analizy według analityków Agencji”; str. 40/55, akapit rozpoczynający się od słów: „Wątpliwości budzi również argumentacja dot. oszczędności dla świadczeniodawcy”.	Odwołanie do oszczędności świadczeniodawcy miało wyłącznie [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] Możliwość wykorzystania przez szpital zaoszczędzonych środków lub uzyskania przyszłych przychodów nie została ujęta jako dodatkowa oszczędność ani jako założenie w AE lub BIA, a zatem nie miała wpływu na oszacowanie wydatków NFZ.

Rozdział 5.3.1 Ocena analizy ekonomicznej”, część „Ograniczenia analizy według analityków Agencji”; ostatni akapit dotyczący prezentacji 1- i 8-fiolkowej str. 40/55,.	Wnioskodawca pragnie wyjaśnić, że obie prezentacje produktu różnią się wyłącznie liczbą fiolek w opakowaniu. [REDACTED] W analizie podstawowej [REDACTED] [REDACTED] Jest to podejście konserwatywne z perspektywy płatnika publicznego: niezależnie od rzeczywistych udziałów obu prezentacji średni koszt fiolki nie powinien być wyższy od wartości zastosowanej w analizie, natomiast wykorzystanie opakowań 8-fiolkowych mogłoby prowadzić do jego obniżenia. Brak ważenia kosztu udziałami poszczególnych prezentacji nie powoduje zatem zaniżenia kosztów ocenianej technologii ani preferencyjnego oszacowania jej efektywności kosztowej. [REDACTED] Deklarowane wielkości dostaw odnoszą się do organizacyjnego zapotrzebowania na poszczególne opakowania i nie stanowiły podstawy ważenia kosztu fiolki. Kwestia ta nie zmienia przyjętego mechanizmu wyceny: [REDACTED]
---	---

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnoszą się wniesione uwagi; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.

1) 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.