

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OTLI.4131.3.2026
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach nowego programu lekowego „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)”

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 2026 r., poz. 253 z późn. zm.)

² zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 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:

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 2022 r. poz. 2561, z późn. zm.), 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.

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

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 pełnomocnikiem Wnioskodawcy.

Jestem świadomy/świadoma odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

.....
(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
1) Rozdział 5.1.2. Komentarz analityków Agencji 2) Tabela 18. Wiersz 12. 3) Rozdział 5.3.1. Strona 36. Dodatkowe ograniczenia zidentyfikowane przez analityków Agencji	<u>Treść AWA:</u> 1, 2) W analizie podstawowej uwzględniono wartości użyteczności oparte na badaniu winietowym, [REDACTED] <u>Odpowiedź:</u> Różne zestawy użyteczności, w tym wartości ujemne, są metodologicznie dopuszczalne, a ich testowanie w analizie wrażliwości jest właśnie prawidłowym sposobem oceny niepewności i jest przejawem transparentnego zarządzania niepewnością zgodnie z zasadami HTA i wytycznymi AOTMiT: „Jeśli zidentyfikowano alternatywny zestaw użyteczności, który spełniał warunki wyszukiwania, odpowiada charakterystyce stanów zdrowia w modelu oraz jest akceptowalny metodologicznie, należy przetestować jego wpływ na wyniki analizy ekonomicznej w ramach analizy wrażliwości.”. Różnica między zestawami nie musi świadczyć o niestabilności użyteczności. Może po prostu odzwierciedlać heterogeniczność badań i metod wyceny preferencji. Należy również podkreślić, że w kontekście liczby wygenerowanych QALY w porównywanych ramionach leczenia kluczowa jest nie bezwzględna wartość użyteczności, a różnica pomiędzy [REDACTED]. Zatem pomimo różnic w wartościach bezwzględnych w stanie umiarkowanym i ciężkim pomiędzy analizowanymi źródłami danych (dodatnie vs ujemne), wartości bezwzględne nie są kluczowe w kontekście zmian liczby wygenerowanych inkrementalnych QALY, a więc również wartości współczynnika ICUR i werdyktu dot. opłacalności kosztowej.
Rozdział 5.3.1. Strona 36. Dodatkowe ograniczenia zidentyfikowane przez analityków Agencji	<u>Treść AWA:</u> W odpowiedzi na pismo ws. niespełnienia wymagań minimalnych wnioskodawca przedstawił szczegółowe uzasadnienie przyjętego poziomu optymalizacji. Rzeczywisty stopień wykorzystania dzielenia fiolek w warunkach praktyki klinicznej w Polsce pozostaje jednak obarczony niepewnością. Niepewność w tym zakresie potwierdza również opinia ankietowanego przez Agencję eksperta, prof. Owczarka, który wskazał, że skala wykorzystania dzielenia fiolek będzie zależeć od uwarunkowań organizacyjnych i obecnie pozostaje trudna do wiarygodnego oszacowania. <u>Odpowiedź:</u> Wnioskodawca chciałby podkreślić, że poczyni wszelkich starań, aby umożliwić jak najlepszą organizację związaną z udostępnieniem leczenia, gdyż jest to w interesie wszystkich interesariuszy tego procesu, od płatnika publicznego, przez szpitale, pacjentów, na Wnioskodawcy kończąc. Należy ponownie zaznaczyć, że od czerwca 2026 r. w ChPL Vyjuvek wprowadzono zmiany dotyczące stabilności produktu. W praktyce zawartość jednej fiołki może wystarczyć do leczenia pacjenta, u którego stan ustabilizował się i który ma mniej ran pojawiających się rzadziej, przez okres do 6 tygodni. Zmiana ta znacznie ułatwia dzielenie się fiołkami między pacjentami, nawet jeśli leczenie ma charakter bardziej zdecentralizowany. Nie jest jasne, czy

	informacja ta była dostępna i w pełni przejrzysta pod względem praktycznych konsekwencji dla ankiowanego przez Agencję prof. Owczarka.
Rozdział 5.3.1. Strona 36. Dodatkowe ograniczenia zidentyfikowane przez analityków Agencji	<u>Treść AWA:</u> Nie wykazano efektywności kosztowej B-VEC ani z perspektywy NFZ, ani z perspektywy społecznej. Należy przy tym zauważyć, że mimo niewielkiego przekroczenia progu opłacalności w analizie podstawowej przeprowadzonej z perspektywy społecznej, prawdopodobieństwo uzyskania efektywności kosztowej przy obowiązującym progu opłacalności oszacowano na ok. [REDACTED]. <u>Odpowiedź:</u> Brak uzyskania efektywności kosztowej, pomimo wysokiej efektywności klinicznej leku wynika z dwóch głównych przyczyn: 1. Terapia B-VEC+BSC, cechuje się długoterminowymi korzyściami klinicznymi, wysokimi kosztami początkowymi oraz niskimi kosztami po zamknięciu się wszystkich początkowych ran chorego. Wskazuje na to wariant analizy wrażliwości, w którym przyjęto zerową stopę dyskonta kosztów i wyników zdrowotnych [REDACTED]. [REDACTED] Obecne podejście do dyskontowania (przyjęte w analizie podstawowej) nigdy nie uwzględni pełnej wartości klinicznej leczenia B-VEC. Ponadto, w przypadku nieuwzględniania dyskontowania, wyniki są tym gorsze, im dłużej opóźnione jest rozpoczęcie terapii lekiem B-VEC (w skrajnym przypadku maksymalne opóźnienie, równoznaczne ze stosowaniem samej terapii BSC przez całe życie, a więc terapii stosowanej obecnie w populacji DEB w Polsce). Świadczy to o wysokiej potrzebie chorych z DEB na wprowadzenie wnioskowanej technologii do refundacji w Polsce. 2. W przypadku analiz wykonywanych dla technologii stosowanych w chorobach rzadkich należy spodziewać się wyższych wartości współczynników kosztów-użyteczności niż w analizach dla technologii powszechnie stosowanych [Landa 2009]. W innym przypadku dostęp chorych do skutecznego leczenia przy pomocy leków innowacyjnych może pozostać poważnie ograniczony. Temat ten został szczegółowo przedstawiony w Dyskusji (rozdział 14.) Analizy ekonomicznej. W przypadku wyniku ICUR będącego dokładnie na progu opłacalności oczekiwane byłoby uzyskanie wartości ok. 50% w analizie probabilistycznej. Zatem uzyskana wartość [REDACTED] w analizie podstawowej przeprowadzonej z perspektywy społecznej wskazuje na duże prawdopodobieństwo opłacalności, tj. zbliżone do wartości 50%.
1) Tabela 24. Wiersz 4. 2) Rozdział 6.3.1. Strona 42. Komentarz analityków Agencji	<u>Treść AWA:</u> 1) Wnioskodawca przedstawił uzasadnienie przyjętych udziałów rynkowych technologii wnioskowanej [REDACTED] jednak założenia te pozostają obarczone niepewnością ze względu na brak danych empirycznych potwierdzających tempo wdrażania terapii w praktyce klinicznej. [REDACTED] 2) Rzeczywisty odsetek pacjentów, u których oceniana technologia byłaby stosowana po objęciu jej refundacją pozostaje obarczony niepewnością. <u>Odpowiedź:</u> Niepewność została prawidłowo zidentyfikowana i może być w pełni scharakteryzowana z wykorzystaniem analizy wrażliwości, natomiast sama obecność wyższej opinii drugiego eksperta nie oznacza, że wariant [REDACTED] jest niewiarygodny [REDACTED]

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

3. 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 2022 r., poz. 2561 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 2022 r., poz. 2561 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 2022 r., poz. 2561 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 2022 r., poz. 2561 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 2022 r., poz. 2561 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.

