

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

Formularz zgłaszania uwag do analiz weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	OT.423.1.44.2024
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych: <ul style="list-style-type: none">• Kaftrio, Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum, Granulat w saszetce, 75 mg + 50 mg + 100 mg, 28, saszetka, GTIN: 00351167172704,• Kaftrio, Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum, Granulat w saszetce, 60 mg + 40 mg + 80 mg, 28, saszetka, GTIN: 00351167173305,• Kaftrio, Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum, Tabletki powlekane, 37,5 mg + 25 mg + 50 mg, 56, tabl., GTIN: 00351167149409,• Kaftrio, Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum, Tabletki powlekane, 75 mg + 50 mg + 100 mg, 56, tabl., GTIN: 00351167143902,• Kalydeco, Ivacaftorum, Granulat w saszetce, 75 mg, 28 saszetka, GTIN: 00351167174302,• Kalydeco, Ivacaftorum, Granulat w saszetce, 59,5 mg, 28, saszetka, GTIN: 00351167175309,• Kalydeco, Ivacaftorum, Tabletki powlekane, 75 mg, 28, tabl., GTIN: 00351167144503,• Kalydeco, Ivacaftorum, Tabletki powlekane, 150 mg, 28, tabl., GTIN: 00351167136201, w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)”

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 przesać 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:

Wojciech Piotr Szymański, [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]

[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:

[REDACTED]

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.

Leszno, 22.10.2024

(data i miejscowość złożenia deklaracji)

.....
Szymanski

(podpis osoby składającej deklarację)

2. Część II – Uwagi

1) Uwagi ogólne do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer * (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
rozdział 3.1.1.3	<p>W uzupełnieniu do analizy weryfikacyjnej (dalej jako „AWA”), przedstawiając komentarz Fundacji Mukobohaterowie, pragnę zwrócić uwagę na następujące kwestie.</p> <p>Biorąc pod uwagę dużą skuteczność kliniczną, akceptowalny profil bezpieczeństwa oraz niezaspokojoną potrzebę zdrowotną Rada Przejrzystości zarekomendowała umieszczenie w wykazie technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej produkt leczniczy Kaftrio (opinia Rady Przejrzystości nr 119/2021 z dnia 23 sierpnia 2021 roku). Następnie, Prezes AOTMiT umieścił Kaftrio w wykazie technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej z dnia 26 sierpnia 2021 roku.</p>
tabela 4., strona 15	<p>Uwagi wymaga także problem dotyczący decyzji związanych z umorzonym postępowaniem o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu (w ramach zlecenia 89/2022). W rekomendacji Prezesa AOTMiT nr 113/2022 z dnia 28 listopada 2022 roku wskazanie refundacyjne zostało określone jako (podkreślenie własne) „pacjenci w wieku co najmniej 6 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR”, podczas gdy problem decyzyjny dotyczył pacjentów w wieku od 6 do 11 lat homozygotycznych lub heterozygotycznych pod względem mutacji F508del genu CFTR oraz pacjentów w wieku od 12 lat heterozygotycznych pod względem mutacji F508del z mutacją <u>inną niż</u> określaną jako minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR. Opis podejmowanej decyzji był ściśle (z błędem) przenoszony do wykazu produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Na marginesie wskazuję, że Fundacja Mukobohaterowie w stanowisku z 31 stycznia 2023 roku przekazała na ręce Ministra Zdrowia krytyczne odniesienie się do podjętych decyzji. Na poniższej grafice znajduje się opis problemu decyzyjnego dotyczący obecnie rozpatrywanego wniosku, wykorzystujący zwroty używane przez wnioskodawcę.</p>



DOSTĘPNOŚĆ KAFTRIO + KALYDECO

POPULACJA CHORYCH (NA PODSTAWIE GENOTYPÓW)	REJESTRACJA EMA	OBECNIE REFUNDOWANE	PROBLEM DECYZYJNY
F/F 2 mutacje F508del	od 2 lat ¹ (wniosek refundacyjny stanowi pełne uzupełnienie na potrzeby rozszerzenia wskazań refundacyjnych do wskazań rejestracyjnych)	od 12 lat ¹	od 2 do 11 r. ż. ¹ (obecnie refundowane mniej skuteczne terapie alternatywne ²)
F/MF mutacja F508del oraz mutacja minimalnej funkcji			od 2 do 11 r. ż. ¹ (nie istnieje alternatywna terapia ²)
F/RF mutacja F508del oraz mutacja funkcji rezydualnej		✗	od 2-giego roku życia ¹ (obecnie refundowana mniej skuteczna terapia alternatywna od 6 r. ż. ²)
F/G mutacja F508del oraz mutacja bramkowania		✗	od 2-giego roku życia ¹ (obecnie refundowana mniej skuteczna terapia alternatywna od 1 r. ż. ²)
F/inna niezaklasyfikowane do powyższych grup lub nieznane, potwierdzone diagnostycznie jako wywołujące chorobę		✗	od 2-giego roku życia ¹ (nie istnieje alternatywna terapia ²)

1. Analiza weryfikacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, str. 17,
2. Technologie alternatywne wskazane przez wnioskodawcę, w: ibidem, str. 24.

Jako Fundacja Mukobohaterowie zwracamy się z uprzejmą prośbą o przekazanie **jednoznacznej** rekomendacji, wskazującej na poprawne uwzględnienie podziału pacjentów chorych na mukowiscydozę pod względem posiadanych mutacji genu CFTR.

rozdział
3.2,
strona
17

Liczba odkrywanych patogennych mutacji genu CFTR wciąż rośnie. W rejestrze pacjentów CFTR2 (<http://www.cftr2.org/>, dostęp w dniu 21 października 2024 roku), powszechnie przywoływanym w literaturze, istnieje znacznie więcej mutacji chorobotwórczych wariantów genu. Według stanu na dzień 24 września 2024 roku jest to aż 1 085 wariantów. W marcu 2019 roku było ich odnotowanych zaledwie 346, a w kwietniu 2023 roku już 804. Pacjenci z rzadszymi mutacjami genu CFTR to pojedyncze jednostki w skali globalnej. To może zbliżyć niektóre subpopulacje chorych na mukowiscydozę, w swojej problematyce, do wyzwań znanych z ultrazadkich chorób. Tym samym, rozszerzenie wskazań refundacyjnych dla terapii skojarzonej Kaftrio + Kalydeco na pacjentów z obecnością mutacji genu CFTR F508del (najczęściej występująca) na jednym allelu i mutacją dowolnego typu na drugim allelu (F/x) **może być jedyną szansą na niezaspokojoną potrzebę leczenia niektórych pacjentów** (wobec trudności z odnalezieniem alternatywnych terapii dla bardzo małych grup pacjentów).

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

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.

d. Uwagi do analizy racjonalizacyjnej

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 skutkowało 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.

Szymański