

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	AOTMiT-OT-4351-21/2015
Tytuł:	Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego: „Leczenie iwakaftorem mukowiscydozy ICD-10 E84”

Uwagi (pkt. 2) wraz z wypełnioną i własnoręcznie podpisaną Deklaracją Konflikty Interesów (pkt. 1) należy złożyć w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, ul. I. Krasickiego 26, 02-611 Warszawa, bądź przesłać przesyłką kurierską lub pocztową na adres siedziby Agencji.

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 konfliktu interesów będą publikowane w BIP AOTMiT².

1. **Deklaracja o konflikcie interesów (DKI)³** – do wypełnienia w przypadku uwag do analizy weryfikacyjnej

Imię i nazwisko osoby składającej DKI dotyczącej złożenia uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej:

.....

Dotyczy wniosku/ów będącego/ych przedmiotem obrad Rady Przejrzystości:

.....

Czego dotyczy DKI⁴:

Przygotowanie ekspertyzy/opracowania w formie pisemnej lub ustnej dla Rady Przejrzystości dotyczącego:

Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej

Złożenie uwag w związku z upublicznionym porządkiem obrad Rady Przejrzystości w dniu

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 2011 r. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.)

² zgodnie z art. 31s ust. 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008, Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.)

³ o której mowa w art. 31s ust. 12 i 23 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008, Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.)

⁴ zaznaczyć tylko 1 pole

Oświadczam, że w stosunku do mnie mojego małżonka/mojej małżonki, mojego zstępnego lub wstępnego w linii prostej, osoby, z którą/osób, z którymi pozostaję we wspólnym pożyciu⁵:

- ┌ **nie zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.),
- ┌ **zachodzą** okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), tj.:
- ┌ pełnienie funkcji członka organów spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzącego działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym;
- ┌ pełnienie funkcji członka organu spółki handlowej lub przedstawiciela przedsiębiorcy prowadzącego działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych;
- ┌ pełnienie funkcji członka organów spółdzielni, stowarzyszeń lub fundacji prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych;
- ┌ posiadanie akcji lub udziałów w spółkach handlowych prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, oraz udziałów w spółdzielniach prowadzących działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalność gospodarczą w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych.
- ┌ prowadzenie działalności gospodarczej w zakresie wytwarzania lub obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobem medycznym lub działalności gospodarczej w zakresie doradztwa związanego z refundacją leków, środków spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych.

Proszę podać szczegóły, które Pani/Pan uzna za niezbędne, oraz nazwy podmiotów, z którymi wiążą Panią/Pana (małżonka/małżonkę, zstępnych lub wstępnych w linii prostej lub osoby z którymi pozostaje Pan/Pani we wspólnym pożyciu) relacje powodujące konflikt interesów. Opis powinien być możliwie zwięzły.

.....

.....

.....

.....

.....

Jestem świadoma/y odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DKI:

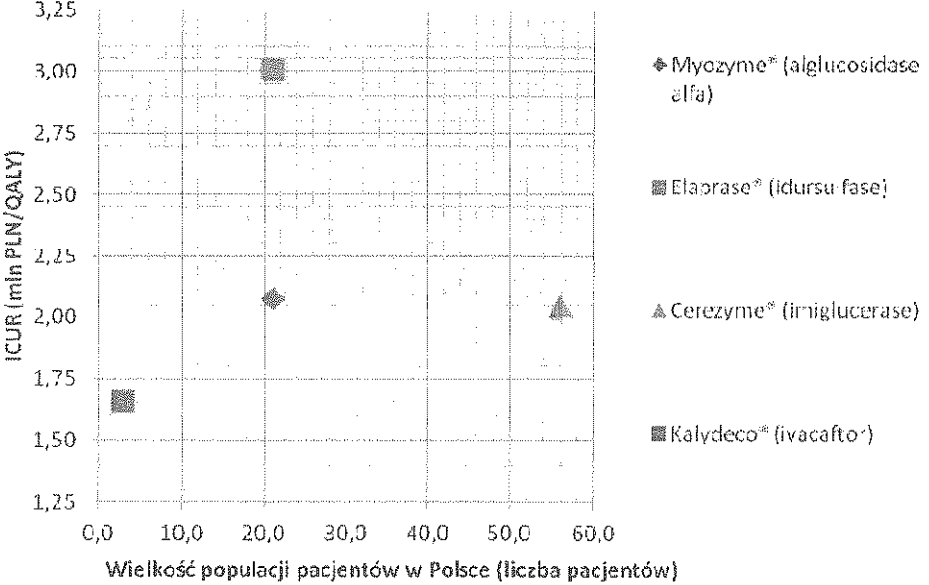
Warszawa, 19.06.2015 r.

⁵ niepotrzebne skreślić

Dyrektor Zarządzający
Prokurent Spółki
KOMTUR POLSKA Sp. z o.o.
Pawel Woźniak

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi																								
1) ogólna uwaga do rozdziału 4.	<p>Mając na uwadze charakter wnioskowanej technologii (lek sierocy stosowany w chorobie rzadkiej, kilku pacjentów w Polsce; brak alternatywy dla wnioskowanej technologii) w Analizie ekonomicznej zestawiono również dostępne informacje na temat produktów leczniczych refundowanych w Polsce w chorobach dziedzicznych i wycelowanych w bezpośrednie skutki defektu genetycznego – uzasadniono cenę wnioskowanej technologii lekowej w ramach podejścia egalitarnego, przy uwzględnieniu następujących parametrów: wartość inkrementalnego współczynnika kosztów-użyteczności, liczby pacjentów predysponowanych do leczenia danym produktem w Polsce i rocznego kosztu stosowania danego produktu u jednego pacjenta w warunkach polskich.</p> <p>Wyniki zestawienia przedstawione w rozdziale 4.3. analizy ekonomicznej przedłożonej Agencji, świadczą, że wnioskowana technologia: z dużym prawdopodobieństwem jest tańsza, cechuje się takim samym (w wielu przypadkach – niższym) inkrementalnym współczynnikiem kosztów-użyteczności oraz cechuje się korzystniejszym stosunkiem rocznego kosztu stosowania u jednego pacjenta do liczby pacjentów z populacji docelowej w odniesieniu do leków sierocych aktualnie refundowanych w Polsce w leczeniu bezpośrednich skutków defektów genetycznych wśród pacjentów z chorobami rzadkimi.</p> <p>Podsumowanie tego zestawienia zamieszczono na wykresach poniżej.</p> <table border="1"> <caption>Dane z wykresu: Roczny koszt leczenia z perspektywy NFZ (maksymalny) w mln PLN vs. Wielkość populacji pacjentów w Polsce (liczba pacjentów)</caption> <thead> <tr> <th>Lek</th> <th>Wielkość populacji pacjentów w Polsce (liczba pacjentów)</th> <th>Roczny koszt leczenia z perspektywy NFZ (maksymalny) (mln PLN)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Myozyme® (αglucosidase a fa)</td> <td>~20</td> <td>~1,65</td> </tr> <tr> <td>Elaprase® (idursulfase)</td> <td>~5</td> <td>~1,15</td> </tr> <tr> <td>Naglazyme® (galsulfase)</td> <td>~5</td> <td>~1,9</td> </tr> <tr> <td>Cerezyme® (imig ucrase)</td> <td>~20</td> <td>~1,85</td> </tr> <tr> <td>Aldurazyme® (aronidase)</td> <td>~15</td> <td>~1,4</td> </tr> <tr> <td>Vpriv® (velaglucerase alfa)</td> <td>~30</td> <td>~1,8</td> </tr> <tr> <td>Ka-ydeco® (ivacaftor)</td> <td>~55</td> <td>~1,8</td> </tr> </tbody> </table>	Lek	Wielkość populacji pacjentów w Polsce (liczba pacjentów)	Roczny koszt leczenia z perspektywy NFZ (maksymalny) (mln PLN)	Myozyme® (αglucosidase a fa)	~20	~1,65	Elaprase® (idursulfase)	~5	~1,15	Naglazyme® (galsulfase)	~5	~1,9	Cerezyme® (imig ucrase)	~20	~1,85	Aldurazyme® (aronidase)	~15	~1,4	Vpriv® (velaglucerase alfa)	~30	~1,8	Ka-ydeco® (ivacaftor)	~55	~1,8
Lek	Wielkość populacji pacjentów w Polsce (liczba pacjentów)	Roczny koszt leczenia z perspektywy NFZ (maksymalny) (mln PLN)																							
Myozyme® (αglucosidase a fa)	~20	~1,65																							
Elaprase® (idursulfase)	~5	~1,15																							
Naglazyme® (galsulfase)	~5	~1,9																							
Cerezyme® (imig ucrase)	~20	~1,85																							
Aldurazyme® (aronidase)	~15	~1,4																							
Vpriv® (velaglucerase alfa)	~30	~1,8																							
Ka-ydeco® (ivacaftor)	~55	~1,8																							

	 <p>Uznano, iż pomimo braku spełnienia kryteriów użyteczności ekonomicznej finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych (przekroczenie progu opłacalności charakterystyczne dla leków sierocych), przedstawione informacje pozwalają uzasadnić cenę wnioskowanej technologii w ramach podejścia egalitarnego.</p>
<p>2) Str. 63-64 i 83 (rozdział 4.5.4.)</p>	<p>Produkt leczniczy Kalydeco[®] został zarejestrowany do stosowania w Unii Europejskiej 23 lipca 2012 roku. Rejestracja przebiegła po 2005 roku, stąd dla wnioskowanej technologii definiowany jest okres wyłączności rynkowej zgodnie z Dyrektywą 2004/27/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r.</p> <p>Dla leków, dla których obowiązuje „okres wyłączności rynkowej” na ww. warunkach, ustawa o refundacji leków, ... (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696. z późn. zm.) wprowadza redukcję urzędowej ceny zbytu o co najmniej 25% (art. 13 ust. 2 ustawy).</p> <p>Wyniki przeprowadzonego modelowania świadczą, że okres stosowania wnioskowanej technologii u standardowego pacjenta przekroczy moment ustawowej redukcji ceny. Na tej podstawie przy uwzględnieniu obowiązujących w chwili złożenia wniosku aktów prawnych w ramach modelowania uwzględniono ustawową obniżkę cen zbytu netto. Nieuwzględnienie tego aspektu można uzasadnić jedynie oczekiwaną zmianą zapisu art. 13 ust. 2 ustawy o refundacji leków. Nic nie wskazuje na chęć wycofania się regulatora z tego zapisu i na tej podstawie został on uwzględniony w analizie ekonomicznej.</p>
<p>3) str. 79 (pierwszy punkt)</p>	<p>Zgodnie z informacjami przedstawionymi w Analizie wpływu na budżet, do leczenia wnioskowaną technologią w Polsce kwalifikują się w chwili obecnej tylko pacjenci z mutacją G551D.</p> <p>W ramach analizy wrażliwości oceniono wyniki analizy ekonomicznej tylko w grupie pacjentów z badań klinicznych z mutacją G551D. Nie ma przesłanek za rozbieżnością charakterystyki pacjentów z ww. mutacją włączonych do badań (wiele ośrodków z kilku krajów) i pacjentami w Polsce, tym bardziej że aktualny kształt programu lekowego, podobnie jak badania randomizowane, wyklucza pacjentów z FEV1% pred. poniżej 40%.</p>
<p>4) str. 80 (pierwszy punkt na stronie)</p>	<p>W ramach analizy wrażliwości uwzględniono opcjonalne modele predykcji wpływu wnioskowanej technologii na przeżycie całkowitej – modele z publikacji Buzzetti 2012, odnoszące się do odrębnej populacji chorych niż uwzględniono w modelu Liou 2001. Wyniki nie uległy istotnej zmianie (obserwowane zmniejszenie ICUR nie było wyższe niż 10%).</p> <p>Podobne wyniki otrzymane przy uwzględnieniu trzech różnych modeli regresji opracowanych na podstawie danych dotyczących dwóch odrębnych grup pacjentów, świadczą, iż ograniczenie wskazane przez Agencję nie ma istotnego wpływu na wyniki.</p>

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

3. Uwagi do analiz wnioskodawcy⁶

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.

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.

⁶ analizy, o których mowa w art. 25 pkt 14) lit. c oraz art. 26 pkt 2) lit. h oraz i ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2011 r. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.)