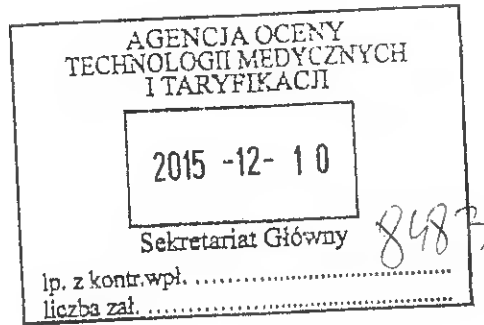




RECORDATI GROUP

Wnioskodawca:
ORPHAN EUROPE SARL
Immeuble "Le Wilson"
70 avenue du Général de Gaulle
92800 Puteaux, Francja



Warszawa, dnia 10 grudnia 2015 r.

Sz.P.

dr n. med. Wojciech Matuszewicz

Prezez Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

ul. I. Krasickiego 26

02-611 Warszawa

Dotyczy: Uwag do przekazanej wnioskodawcy analizy weryfikacyjnej AOTMiT dla produktu leczniczego Carbaglu (kwas kargluminowy)


Szanowny Panie Prezesie,

W załączeniu przekazuję uwagi wnioskodawcy do analizy weryfikacyjnej dla produktu leczniczego:

- **Carbaglu (kwas kargluminowy), tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej, 200 mg, 5 tabletek, kod EAN: 590999213900 oraz**
- **Carbaglu (kwas kargluminowy), tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej, 200 mg, 60 tabletek, kod EAN: 590999213894**

we wskazaniu: leczenie hiperamonemii spowodowanej pierwotnym niedoborem syntazy N-acetyloglutaminianowej.

W imieniu wnioskodawcy


Małgorzata Rogaszewska

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

Formularz zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej AOTMiT:	
Numer:	AOTMiT-OT-4350-28/2015
Tytuł:	Wnioski o objęcie refundacją leków Carbaglu (kwas kargluminowy) we wskazaniach: <ul style="list-style-type: none">• Carbaglu, kwas kargluminowy, tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej 200 mg, 5 tabletek, kod EAN: 5909990213900;• Carbaglu, kwas kargluminowy, tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej 200 mg, 60 tabletek, kod EAN: 5909990213894.

Uwagi (pkt. 2) wraz z wypełnioną i własnoręcznie podpisaną Deklaracją Konflikту 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:

Małgorzata Rogaszewska

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

.....

Czego dotyczy DKI⁴:

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

-dotyczącego:

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

Złożenie uwag do upublicznionej analizy weryfikacyjnej

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

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 pożyciu~~⁵:

nie zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015, poz. 581),

zachodzą okoliczności określone w art. 31s ust. 8 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015, poz. 581.), 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.

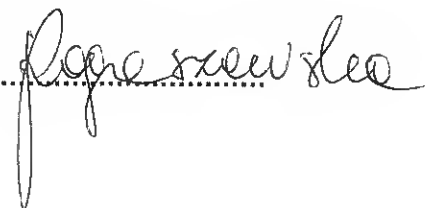
Proszę podać szczegóły, które Pani/Pan uzna za niezbędne, oraz nazwy podmiotów, z którymi wiązą Panią/Pana (małżonka/małżonkę, zstępnych lub wstępnych w linii prostej lub osoby z którymi pozostaje Pan/Pani we wspólnym pożyciu) relacje powodujące konflikt interesów. Opis powinien być możliwie zwięzły.

W firmie ORPHAN EUROPE zajmuję stanowisko Kierownika Usług i Informacji Medycznych

Jestem świadoma/ły odpowiedzialności karnej za złożenie fałszywego oświadczenia.

Data składania i podpis osoby składającej DK1

10.12.2015



⁵ niepotrzebne skreślić

Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
Rozdział 6.1.2 str. 62	<p>Dotyczy uwagi analityków Agencji: <i>„Brak uwzględnienia w modelu wnioskodawcy kosztów diagnostyki.”</i></p> <p>W modelu nie uwzględniono kosztów diagnostyki, ponieważ wnioskodawca w całości będzie finansował koszty diagnostyki molekularnej niedoboru syntazy N-acetyloglutaminianowej.</p>
Rozdział 6.4 str. 69	<p>Dotyczy komentarza Agencji: <i>„Zdaniem Agencji, największa niepewność wynika z liczby pacjentów, którzy będą stosowali NCGA bez rozpoznania potwierdzonego odpowiednimi testami (...)”</i></p> <p>Warunkiem refundacji jest potwierdzone rozpoznanie niedoboru syntazy N-acetyloglutaminianowej. Wstępna diagnoza niedoboru syntazy N-acetyloglutaminianowej na podstawie objawów i parametrów biochemicznych powinna być wsparta przez biopsję wątroby i badania DNA. Ze względu na ultrazadki charakter choroby, ryzyko refundacji u pacjentów bez potwierdzonego rozpoznania jest marginalne – należy przyjąć, że w przypadku tak rzadkiej jednostki chorobowej, każdy przypadek będzie niezwykle dobrze udokumentowany i doskonale znany osobom prowadzącym terapię (prawdopodobnie będzie to jeden ośrodek w Polsce). Kontrola wydatków refundacyjnych NFZ w przypadku refundacji tylko we wskazaniu niedoboru syntazy N-acetyloglutaminianowej nie powinna zatem stanowić żadnego problemu logistycznego.</p> <p>Wydaje się, że zaproponowany przez AOTMiT instrument podziału ryzyka, zakładający przerzucenie odpowiedzialności za niezgodne ze wskazaniem refundacyjnym finansowanie wnioskowanego leku na podmiot odpowiedzialny, jest niezgodne z Art. 48 Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.</p>
Rozdział 12 str. 81	<p>Dotyczy uwagi analityków Agencji: <i>„Kluczowe ograniczenia AWB wnioskodawcy: 1) Brak uwzględnienie kosztów dla NFZ generowanych przez pacjentów z ostrą hiperamonemią pierwotną, u których leczenie NCGA należy rozpocząć przed ustaleniem etiologii choroby”</i></p> <p>Należy zwrócić uwagę, że wniosek refundacyjny dotyczy refundacji w lecznictwie otwartym (lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny dostępny w aptece na receptę we wskazaniu określonym stanem klinicznym) i warunkiem refundacji jest potwierdzone rozpoznanie pierwotnego niedoboru syntazy N-acetyloglutaminianowej, stąd przedmiotem analizy nie mogą być koszty generowane przez pacjentów z ostrą hiperamonemią pierwotną, u których leczenie NCGA należy rozpocząć przed ustaleniem etiologii choroby. Należy również podkreślić, że pacjenci z</p>

	ostrą hiperamonemią pierwotną do czasu ustalenia rozpoznania, leczenia są w warunkach szpitalnych, których nie dotyczy wnioski refundacyjny.
--	--

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

2. 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

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.)

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnosi się uwaga; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.