



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 118/2023 z dnia 9 października 2023 roku
w sprawie oceny leku Veltassa (patiromer wapniowy) we wskazaniu:
patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu
przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Veltassa (patiromer calcium), proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 8,4 g, 30 sasz., GTIN: 07640166811459, we wskazaniu: patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową, pod warunkiem obniżenia ceny i ograniczenia populacji do chorych z niewydolnością serca.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Patiromer to niewchłanialny polimer ze zdolnością wymiany kationów, który zwiększa wydalanie potasu poprzez wiązanie go w świetle przewodu pokarmowego, co powoduje zmniejszenie stężenia potasu w surowicy. Patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek. Wnioskowane wskazanie jest zawężone względem wskazania zarejestrowanego do hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI (inhibitory układu renina-angiotensyna-aldosteron).

Produkt leczniczy Veltassa był przedmiotem oceny Agencji w 2021 r. w ramach wykazu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (TLK) we wskazaniu: hiperkaliemia u osób dorosłych. Rada przejrzystości uznała produkt leczniczy Veltassa za technologię lekową o wysokiej wartości klinicznej.

Dowody naukowe

W badaniu AMBER w grupie przyjmującej patiromer + spironolakton w porównaniu do grupy przyjmującej placebo + spironolakton zaobserwowano statystycznie istotny wyższy odsetek pacjentów nadal przyjmujących spironolakton oraz pacjentów z poziomem potasu w surowicy $<5,5$ mEq/l. W badaniu OPAL-HK w grupie przyjmującej patiromer w porównaniu do grupy przyjmującej placebo zaobserwowano statystycznie istotny niższy odsetek pacjentów wymagający interwencji w związku z nawrotem hiperkaliemii.

Ponadto zaobserwowano wyższy odsetek pacjentów nadal otrzymujący RAASi pod koniec fazy randomizowanej. W badaniu PEARL-HF w grupie przyjmującej patiromer w porównaniu do grupy przyjmującej placebo zaobserwowano statystycznie istotną niższą częstość występowania hiperkaliemii. W opracowaniach wtórnych podkreśla się, że badania kliniczne monitorujące stosowanie patiromeru wykazały klinicznie istotne zmniejszenie stężenia potasu i dobrą tolerancję leczenia oraz ograniczenie dyskontynuacji RAASi.

Głównym ograniczeniem analizy wnioskodawcy jest fakt, że włączone badania dotyczą niejednorodnej populacji pacjentów, u których hiperkaliemia wystąpiła w przebiegu różnych chorób, a ponadto w badaniach stosowano różne dawki patiromeru i większość badań klinicznych ma krótki okres obserwacji.

Profil bezpieczeństwa leku jest akceptowalny. W badaniach AMBER, OPAL-HK i DIAMOND nie zaobserwowano istotnych statystycznie różnic w częstości występowania zdarzeń niepożądanych ogółem. Jedynie w badaniu PEARL-HF w grupie przyjmującej patiromer odsetek zdarzeń niepożądanych był statystycznie istotnie wyższy niż w grupie przyjmującej placebo (54% vs 31%). W badaniu PEARL-HF w grupie przyjmującej patiromer odsetek żołądkowo-jelitowych zdarzeń niepożądanych był statystycznie istotnie wyższy niż w grupie przyjmującej placebo (21% vs 6%, OR(95%CI): 4,18 (1,10; 15,83)). W badaniu AMBER w grupie z patiromerem zaobserwowano statystycznie istotny niższy odsetek pacjentów, u których wystąpiły zdarzenia niepożądane prowadzące do przerwania leczenia (7% vs 14%, OR (95%CI): 0,44 (0,20; 0,97)) oraz niższy odsetek pacjentów, u których wystąpiła hiperkaliemia prowadząca do przerwania leczenia (1% vs 7%, OR (95%CI): 0,17 (0,04; 0,79)).

Problem ekonomiczny

Wg oszacowań wnioskodawcy stosowanie produktu Veltassa w miejsce terapii standardowej jest droższe i bardziej skuteczne. Objęcie refundacją produktu leczniczego Veltassa w populacji wnioskowanej spowoduje zwiększenie wydatków z budżetu płatnika publicznego.

Istnieje niepewność co do wysokości dawki patiromeru przyjętej w analizie ekonomicznej wnioskodawcy (8,4 g dziennie), ponieważ w badaniu OPAL HK, którego dane kliniczne wykorzystano do modelowania skuteczności wnioskowanej terapii, większość pacjentów (62%), stosowała podwyższoną dawkę patiromeru, tj. 16,8 g/dzień (8,4 g dwa razy dziennie). Przyjęcie w modelu wyższego dawkowania u części modelowanej populacji powoduje wzrost ICUR. Ponadto w analizie wnioskodawcy nie przedstawiono uzasadnienia zawężenia populacji docelowej do pacjentów z przewlekłą chorobą nerek w stadium 3b-5, a wniosek refundacyjny dotyczy pacjentów z hiperkaliemią w przebiegu PChN we wszystkich stadiach.

Odnaleziono 10 rekomendacji refundacyjnych dotyczących stosowania produktu leczniczego Veltassa we wnioskowanym wskazaniu: 2 pozytywne (PBAC 2023 i HAS 2022), 4 pozytywne warunkowo (SMC 2021, CADTH 2021, NICE 2020 i ZN 2019) oraz 4 negatywne (w tym 3 rekomendacje PBAC z lat 2019, 2020 i 2022 oraz rekomendację NCPE 2019). W uzasadnieniu pozytywnych rekomendacji podkreślono fakt udostępnienia dodatkowej opcji leczenia dla pacjentów z hiperkaliemią (HAS 2022) oraz zastosowanie obniżki ceny leku (PBAC 2023). W warunkowo pozytywnych rekomendacjach zawężano wnioskowaną populację, a zalecenia uzależniano od obniżenia ceny leku. W negatywnych rekomendacjach wskazywano na brak dowodów długoterminowej skuteczności patiromeru oraz wysoki koszt leku (PBAC 2019-2022). Terapia wnioskowanym produktem leczniczym jest refundowana w kilkunastu krajach UE i EFTA.

Główne argumenty decyzji

- *skuteczność i bezpieczeństwo technologii,*
- *efektywność kosztowa,*
- *niepewność oszacowań ekonomicznych powinna stanowić przesłankę do obniżenia ceny leku i zawężenia populacji do chorych z niewydolnością serca*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.0.18.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Veltassa (patiromer wapniowy) we wskazaniu: patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI”; data ukończenia: 28.09.2023 r.