



## Rekomendacja nr 32/2026

z dnia 2 marca 2026 r.

### Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Beyontra (akoramidis) w ramach programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”

**Prezes Agencji rekomenduje** objęcie refundacją produktu leczniczego Beyontra (akoramidis) w ramach programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”, **pod warunkiem** pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka (RSS).

#### Uzasadnienie

Ocena dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Beyontra (akoramidis) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM), w ramach istniejącego programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Zgodnie z wytycznymi, we wnioskowanym wskazaniu zaleca się równorzędnie stosowanie akoramidisu, tafamidisu oraz wutrisiranu. Niektóre wytyczne precyzują klasę czynnościową NYHA – zalecając stosowanie wymienionych terapii w klasach I-III, lub w klasach I-II z wyższą siłą zaleceń oraz w klasie III z nieco niższą siłą zaleceń.

Aktualnie w analizowanym wskazaniu, w programie lekowym B.162, finansowany jest tafamidis, który – podobnie jak akoramidis – jest stabilizatorem transtyretyny (TTR).

W związku z brakiem badań bezpośrednio porównujących akoramidis z tafamidisem, ocenę skuteczności i bezpieczeństwa terapii oparto na wynikach porównania pośredniego metodą Buchera, opracowanego przez Wnioskodawcę. Wyniki analizy wskazują na brak istotnych statystycznie (IS) różnic zarówno w hierarchicznej ocenie skuteczności obejmującej zgony z dowolnej przyczyny oraz hospitalizacje z przyczyn sercowo-naczyniowych, jak również w osobnych analizach dla tych punktów końcowych. IS różnicę odnotowano wyłącznie dla wyniku testu 6-minutowego marszu (6-MWT), wskazując na korzystniejszy efekt w zakresie tolerancji wysiłku w grupie pacjentów leczonych tafamidisem. Wyniki dotyczące jakości życia nie różniły się IS pomiędzy porównywanymi terapiami.

Wyniki w zakresie bezpieczeństwa wskazują, że akoramidis i tafamidis charakteryzują się zbliżonym ogólnym profilem bezpieczeństwa (np. porównywalne odsetki TEAEs, w większości nieistotne statystycznie różnice), jednak różnią się charakterem poszczególnych kategorii TEAEs. U pacjentów stosujących akoramidis rzadziej występowały zaburzenia dotyczące serca, natomiast u pacjentów stosujących tafamidis – korzystniejszy profil dotyczący zaburzeń żołądkowo-jelitowych i neurologicznych. W grupie akoramidisu częściej obserwowano biegunkę, zaburzenia układu nerwowego, dnę moczanową oraz zaburzenia nerek i dróg moczowych. Należy podkreślić niepewności analizy wynikające m.in. z występowania heterogeniczności badań wykorzystanych do porównania (w populacji, raportowaniu TEAEs, czasie prowadzenia badań). Dodatkowo należy zwrócić uwagę, że w badaniu ATTRibute-CM, możliwe było równoczesne stosowanie tafamidisu po 12 miesiącach (ok. 15% w grupie akoramidisu vs 23% w placebo). Nieznany jest wpływ potencjalnej interferencji dwóch aktywnych stabilizatorów TTR (akoramidis i tafamidis) na wyniki badania.

W ramach analizy ekonomicznej Wnioskodawca porównał stosowanie akoramidisu i tafamidisu techniką analizy minimalizacji kosztów (CMA), argumentując takie podejście faktem braku istotnych statystycznie różnic w skuteczności klinicznej leków w porównaniu pośrednim. Natomiast analitycy Agencji zwracają

uwagę, że przyjęta przez Wnioskodawcę technika analityczna, powinna być stosowana wyłącznie, jeśli wykazano równorzędność efektów zdrowotnych porównywanych terapii. Wskazując na występowanie IS różnic pomiędzy terapiami w niektórych parametrach oceny skuteczności oraz bezpieczeństwa oraz ograniczenia wykorzystanej metody Buchera, preferowaną i adekwatną techniką analityczną jest analiza użyteczności kosztów (CUA). Oszacowania Wnioskodawcy wskazują, że stosowanie akoramidisu względem tafamidisu jest [ ] w wariancie z RSS, w wariancie bez RSS – droższe.

Należy zaznaczyć, że przyjęte w analizie ekonomicznej założenia (m.in. roczny horyzont, brak uwzględnienia śmiertelności, zakończenia leczenia lub zmiany leku z tafamidisu na akoramidisu lub odwrotnie), będące konsekwencją zastosowanej techniki analitycznej (CMA), nie pozwalają na właściwe ujęcie wpływu tych czynników na koszty inkrementalne. Ponadto, Wnioskodawca nie uwzględnił zróżnicowania czasu terapii oraz założył jednakowy schemat dawkowania obu leków, a tym samym brak różnic w przestrzeganiu planu leczenia (*compliance*) – zgodnie z ChPL akoramidisu przyjmuje się dwa razy na dobę (po dwie tabletki), natomiast tafamidisu – raz na dobę (po jednej kapsułce). Wydaje się, że opisane wyżej założenie – szczególnie w populacji obciążonej wieloma chorobami i w zaawansowanym wieku – jest nieuzasadnione, a jego przyjęcie obniża wiarygodność przeprowadzonej analizy.

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy wskazują na [ ] wydatków płatnika publicznego w wariancie uwzględniającym RSS o [ ] w I roku refundacji i [ ] w II roku refundacji. Z kolei w wariancie bez RSS objęcie refundacją leku Beyontra spowoduje wzrost wydatków NFZ o 2,68 mln PLN w I roku i 7,94 mln PLN w II roku obowiązywania decyzji.

Uwzględniając wyniki i ograniczenia analizy klinicznej (możliwa przewaga komparatora w zakresie wyniku 6-MWT, niejednoznaczny profil bezpieczeństwa, nieznaną wpływ potencjalnej interferencji dwóch aktywnych stabilizatorów TTR na wyniki badania – równoczesne stosowanie akoramidisu i tafamidisu u 15% pacjentów w grupie akoramidisu i 23% w grupie placebo), a jednocześnie niepewności założeń analizy ekonomicznej, a także możliwość poszerzenia wachlarza terapeutycznego we wnioskowanym wskazaniu bez dodatniego wpływu na budżet, przychyłając się do stanowiska Rady Przejrzystości, Prezes Agencji rekomenduje finansowanie produktu leczniczego Beyontra na warunkach określonych w sentencji. W związku z niepewnościami przedstawionej analizy klinicznej zaleca się szczególnie monitorowanie efektywności klinicznej rozpatrywanej terapii.

W odniesieniu do prośby Ministerstwa Zdrowia o przeanalizowanie zasadności usunięcia z kryteriów wyłączenia programu punktu: 3) *przeszczepienie serca lub wątroby*, proszę o przyjęcie poniższego.

Prezes Agencji uznaje za zasadne usunięcie z kryteriów wyłączenia z programu punktu: 3) *przeszczepienie serca lub wątroby* wyłącznie dla akoramidisu (ze względu na zapisy ChPL dla produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) – szczegóły w części *Uwagi do programu lekowego*). Jednocześnie zwraca uwagę, że ze względu na zróżnicowane postępowanie kliniczne w zależności od formy ATTR (dzikiego typu – ATTRwt oraz dziedziczna – ATTRv), decyzja o wyłączeniu pacjenta z programu powinna być podejmowana indywidualnie z uwzględnieniem sytuacji klinicznej pacjenta. Równocześnie Prezes Agencji zwraca uwagę na zasadność rozważenia ujednoczenia kryteriów kwalifikacji do programu lekowego (*brak przeszczepu serca lub wątroby w wywiadzie*) z ww. kryterium wyłączenia z programu.

#### **Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Beyontra (akoramidisu), tabletki powlekane, 356 mg, 120 szt., GTIN 04057598029926, proponowana cena zbytu netto: [ ], wydawanego bezpłatnie w programie lekowym B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”, w ramach nowej grupy limitowej.

#### **Problem zdrowotny**

Amyloidoza transtyretynowa serca (ATTR-CM) to infiltracyjna postać kardiomiopatii wywołana odkładaniem się w mięśniu sercowym nierozpuszczalnych włókien amyloidowych powstających z nieprawidłowo zmienionej transtyretyny (TTR). Dochodzi do sztywności mięśnia sercowego,

zaburzeń jego napełniania i w konsekwencji do niewydolności serca, zwykle początkowo z zachowaną frakcją wyrzutową (HFpEF). Wyróżnia się dwie formy: dzikiego typu (ATTRwt) oraz dziedziczną (ATTRv). W początkowych klasach NYHA objawy są skąpe lub niespecyficzne, co utrudnia rozpoznanie. Do najczęstszych należą: postępująca duszność wysiłkowa, łatwa męczliwość, kołatania serca, sporadyczne obrzęki obwodowe. Objawy często przypominają HFpEF lub kardiomiopatię przerostową. Charakterystyczne są tzw. red flags, m.in. nietypowa niewydolność serca, przerost lewej komory przy niskim QRS, zespół cieśni nadgarstka lub neuropatia. Nieleczona ATTR-CM cechuje się niekorzystnym rokowaniem, a mediana przeżycia w objawowej fazie niewydolności serca wynosi 2-3,5 roku. Wczesne rozpoznanie i wdrożenie leczenia (szczególnie NYHA I-II) pozwala spowolnić progresję choroby, poprawić jakość życia i zmniejszyć ryzyko zgonu. Nowe terapie dodatkowo zwiększają potencjał długoterminowej stabilizacji choroby.

ATTR-CM jest chorobą rzadką, w Polsce rozpoznawaną z istotnym opóźnieniem z powodu nieswoistych objawów oraz ograniczonej świadomości diagnostycznej. W populacji polskiej choroba jest niedoszacowana; dotyczy najczęściej mężczyzn po 60.-70. r.ż.

Od uruchomienia programu lekowego w listopadzie 2024 r. do października 2025 r. w PL B.162 tafamidem leczonych było 177 pacjentów.

### **Alternatywna technologia medyczna**

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii, wskazał tafamidis, finansowany aktualnie w PL B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”. Wybór uznano za zasadny, zgodny z wytycznymi oraz praktyka kliniczną.

### **Opis wnioskowanego świadczenia**

Akoramidis jest specyficznym stabilizatorem TTR. Akoramidis zaprojektowano tak, aby naśladował chroniący przed chorobą wariant genetyczny (T119M) poprzez tworzenie wiązań wodorowych z sąsiadującymi resztami seryny w obu miejscach wiązania tyroksyny w tetramerze. Taka interakcja zwiększa stabilizację tetramery, hamując jego dysocjację do monomerów, a tym samym spowalniając proces amyloidogenny prowadzący do ATTR-CM.

Akoramidis stosowany jest doustnie, dwa razy na dobę (w dawce dwóch tabletek).

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) Beyontra jest wskazany w leczeniu kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej typu dzikiego lub dziedzicznej u dorosłych pacjentów.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne z zarejestrowanym, natomiast zawęża dodatkowo populację kryteriami włączenia do PL, tj. m.in. klasa czynnościowa NYHA I-II, grubość przegrody międzykomorowej przekraczająca 12 mm oraz wynik testu 6-minutowego chodu (6-MWT) powyżej 100 m u pacjentów bez ograniczeń ruchowych.

### **Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa**

Kluczowe wyniki analizy skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa akoramidisu względem tafamidisu pochodzą z porównania pośredniego metodą Buchera, przeprowadzonego na podstawie badań z randomizacją (RCTs) ATTRibute-CM (akoramidis vs placebo) i RCT ATTR-ACT (tafamidis vs placebo) – międzynarodowych, III fazy, podwójnie zaślepionych.

#### *Skuteczność*

Wyniki porównania pośredniego wskazują na brak istotnych statystycznie (IS) różnic zarówno w hierarchicznej ocenie skuteczności obejmującej zgon z dowolnej przyczyny oraz hospitalizacje z przyczyn sercowo-naczyniowych, jak i dla osobnych porównań dla zgonów oraz dla hospitalizacji sercowo-naczyniowych. IS różnice odnotowano wyłącznie dla wyniku testu 6-minutowego marszu (6-MWT), wskazując na lepszą tolerancję wysiłku w grupie leczonej tafamidem (LSMD=-36,08; 95%CI: -62,00; -10,16; p=0,0064).

Wyniki w zakresie jakości życia (kwestionariusz KCCQ-OS) nie różniły się IS pomiędzy terapiami.

### Bezpieczeństwo

Wyniki porównania pośredniego wskazują, że akoramidis i tafamidis charakteryzują się zbliżonym ogólnym profilem bezpieczeństwa (np. porównywalne odsetki TEAEs, w większości nieistotne statystycznie OR), jednak różnią się charakterem poszczególnych kategorii TEAEs.

U pacjentów stosujących akoramidis rzadziej występowały zaburzenia dotyczące serca (OR=0,56; 95%CI: 0,33; 0,96; p=0,0348), natomiast u pacjentów stosujących tafamidis – korzystniejszy profil dotyczący zaburzeń żołądkowo-jelitowych i neurologicznych. W grupie akoramidisu częściej obserwowano biegunkę (OR=3,29; 95%CI: 1,50; 7,22; p=0,003), zaburzenia układu nerwowego (OR=1,77; 95%CI: 1,06; 2,95; p=0,0279), dnę moczaniową (OR=2,34; 95%CI: 1,05; 5,23; p=0,0376) oraz zaburzenia nerek i dróg moczowych (OR=1,83; 95%CI: 1,07; 3,11; p=0,0264).

### Ograniczenia

Jako główne ograniczenia należy wskazać brak badań bezpośrednio porównujących akoramidis z tafamidisem. Wiarygodność wnioskowania na podstawie wyników porównań pośrednich jest ograniczona szczególnie w kontekście występowania heterogeniczności badań wykorzystanych do porównania (różnice pomiędzy badaniami ATTRIBUTE-CM i ATTR-ACT m.in. w populacji, raportowaniu TEAEs, czasie prowadzenia badań). Dodatkowo, w badaniu ATTRIBUTE-CM, zgodnie z decyzją badacza, możliwe było stosowanie tafamidisu po 12 miesiącach (ok. 18% pacjentów), a odsetek jego stosowania różnił się pomiędzy ramionami badania (ok. 15% w grupie akoramidisu vs 23% w placebo). Warto również zwrócić uwagę na potencjalną interferencję dwóch aktywnych stabilizatorów TTR (akoramidis i tafamidis), co utrudnia jednoznaczne przypisanie obserwowanych efektów klinicznych wyłącznie akoramidisowi. Nie zidentyfikowano dowodów potwierdzających skuteczność praktyczną akoramidisu we wnioskowanym wskazaniu.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w Analizie Weryfikacyjnej (AWA).

### Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka (RSS) jakim jest

### Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Przeprowadzono analizę minimalizacji kosztów (CMA) w rocznym horyzoncie czasowym, z perspektywy NFZ (tożsamej ze wspólną).

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie akoramidisu w miejsce tafamidisu jest w skali roku o z uwzględnieniem RSS i droższe o ok. 235 tys. PLN bez uwzględnienia RSS.

Roczny koszt leczenia produktem leczniczym Beyontra w wariacie z RSS wynosi

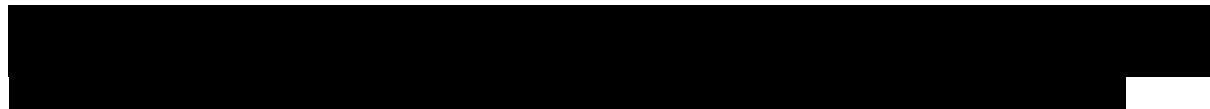
### Ograniczenia

Przyjęta technika analityczna (CMA) powinna być stosowana wyłącznie, jeśli wykazano równorzędność efektów zdrowotnych porównywanych terapii. W opinii analityków Agencji, wobec niejednoznacznych wyników porównania akoramidisu i tafamidisu oraz ograniczeń wykorzystanej metody Buchera, wyniki analizy minimalizacji kosztów należy traktować z ostrożnością.

Przyjęte w analizie założenia (roczny horyzont, brak uwzględnienia śmiertelności, zakończenia leczenia lub zmiany leku z tafamidisu na akoramidis lub odwrotnie) nie pozwalają na właściwe ujęcie wpływu wymienionych czynników na koszty inkrementalne. Ponadto, Wnioskodawca nie uwzględnił zróżnicowania czasu terapii, wskazując na jednakowy schemat dawkowania obu leków i zakładając brak różnic w przestrzeganiu planu leczenia (*compliance*) – zgodnie z ChPL akoramidis przyjmuje się dwa razy na dobę (po dwie tabletki), natomiast tafamidis – raz na dobę (po jednej kapsułce). Wydaje się, że opisane wyżej założenie – szczególnie biorąc pod uwagę obciążenie chorobą i zaawansowany wiek części chorych – jest nieuzasadnione, a jego przyjęcie obniża wiarygodność przeprowadzonej analizy.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w AWA.

### Obliczenia własne Agencji



#### **Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907, z późn. zm.)**

Zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji. CZN leku Beyontra, przy której koszt terapii lekiem Beyontra nie jest wyższy od kosztu terapii lekiem Vyndaqel wynosi 13 104,45 PLN.

#### **Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego**

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w dwuletnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), tożsamą z perspektywą wspólną (NFZ+pacjent).

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [redacted] pacjentów w I roku oraz [redacted] pacjentów w II roku.

Wyniki analizy wskazują, że objęcie refundacją leku Beyontra spowoduje [redacted] wydatków płatnika publicznego w wariantcie z RSS o:

- [redacted] w I roku refundacji;
- [redacted] w II roku refundacji.

Z kolei w wariantcie bez RSS objęcie refundacją leku Beyontra spowoduje wzrost wydatków NFZ o 2,68 mln PLN w I roku i 7,94 mln PLN w II roku obowiązywania decyzji.

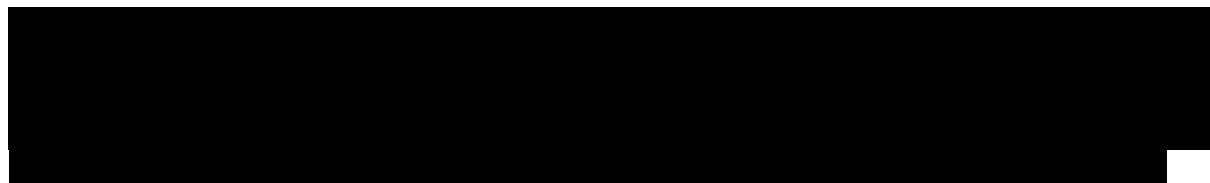
Składowa kosztu, stanowiąca kwotę refundacji produktu leczniczego Beyontra w wariantcie podstawowym analizy z RSS wynosi [redacted] w I roku i [redacted] w II roku analizy.

#### **Ograniczenia**

Analiza obarczona jest znaczną niepewnością wynikającą przede wszystkim z trudności w wiarygodnym oszacowaniu liczebności populacji docelowej. Ponadto, przeprowadzona analiza wrażliwości jest niewystarczająca – ogranicza się jedynie do oceny wpływu udziałów rynkowych akoramidisu. Dodatkowo, założenie 50% przejścia rynku nie zostało odpowiednio uzasadnione, a stanowiska ekspertów były rozbieżne.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w AWA.

### Obliczenia własne Agencji



#### **Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka**



#### **Uwagi do programu lekowego**

Ministerstwo Zdrowia zwróciło się z prośbą do Agencji o ocenę zasadności usunięcia z kryteriów wyłączenia proponowanego programu lekowego punktu: 3) *przeszczepienie serca lub wątroby*, w ślad za opinią ekspertów z dedykowanego Zespołu Koordynacyjnego opiniujących ww. program. Należy jednak mieć na uwadze, że oprócz ww. kryterium wyłączenia z programu, podobne kryterium znajduje się w kryteriach kwalifikacji do PL: 7) *brak przeszczepu serca lub wątroby w wywiadzie*. Usunięcie wyłącznie kryterium wykluczenia dot. przeszczepienie serca lub wątroby, przy jednoczesnym pozostawieniu kryterium włączenia skutkowałoby brakiem możliwości włączenia do leczenia w PL

pacjentów po przeszczepie serca lub wątroby, a jednocześnie umożliwiłoby kontynuację leczenia pacjentów, którzy wymagali transplantacji już w trakcie leczenia w programie.

W opinii konsultantów w dziedzinie kardiologii – Konsultanta Krajowego (KK), jak i Konsultanta Wojewódzkiego (KW) wykluczenie z leczenia pacjentów po przeszczepieniu serca i wątroby jest nieuzasadnione.

Rozważane usunięcie kryterium wyłączenia pacjentów po przeszczepach (serca lub wątroby) w PL dotyczy zarówno akoramidisu, jak i tafamidisu. Należy mieć na uwadze, że zgodnie z ChPL Vyndaqel (tafamidis), ze względu na brak odpowiednich danych, należy przerwać stosowanie tafamidisu po przeszczepieniu narządu, natomiast w ChPL Beyontra (akoramidis) podkreślono jedynie, że lek nie był badany u pacjentów z zaburzeniami czynności wątroby, więc nie zaleca się stosowania w tej grupie.

W badaniach rejestracyjnych akoramidisu pacjenci z prawdopodobnym przeszczepem serca w ciągu roku od badania przesiewowego byli wykluczani, a transplantację serca i wszczepienie urządzenia wspomagającego pracę serca traktowano jako punkty równoważne ze zgonem, co odzwierciedla uznanie takich przypadków za krańcowy etap choroby. Brak odniesienia do pacjentów po przeszczepie wątroby. Natomiast w przypadku badań dla tafamidisu, w kryteriach wyłączenia z badania uwzględniono przebyty przeszczep wątroby/serca oraz urządzenie wspomagające pracę serca.

Większość wytycznych klinicznych, w tym polskie wytyczne kliniczne (PTK 2023) nie odnoszą się bezpośrednio do możliwości stosowania terapii akoramididem lub tafamididem u pacjentów po transplantacji. Jedynie portugalskie wytyczne SPC 2025 wskazują, że u pacjentów z amyloidozą ATTRv, po przeszczepieniu wątroby, u których występują objawy zajęcia serca lub progresja choroby, można rozważyć stosowanie terapii m.in. stabilizatorami TTR. Z kolei w niektórych rekomendacjach refundacyjnych odniesiono się do kryterium przeszczepienia wątroby i/lub serca w ramach zdefiniowania populacji podlegającej refundacji: w Medicinrådet 2025 (Dania) – przeszczepienie wątroby jako kryterium wyłączenia, CIPM 2025 (Hiszpania) – brak przeszczepienia serca lub wątroby w wywiadzie jako kryterium włączenia oraz przeszczepienie wątroby lub serca jako kryterium wyłączenia; oraz AIFA 2025 (Włochy) – przeszczepienie serca oraz wszczepienie urządzenia wspomagającego pracę serca jako kryterium wykluczenia.

Pozostałe uwagi do programu lekowego zostały przedstawione w Analizie Weryfikacyjnej.

### **Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej**

Nie dotyczy.

### **Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii**

#### *Rekomendacje kliniczne*

Odnaleziono 5 dokumentów rekomendacji klinicznych odnoszących się do wnioskowanego wskazania – krajowe: polskie – PTK 2023, amerykańskie – ACC 2025, portugalskie – SPC 2025; oraz międzynarodowe: WHF 2023, iCARDIO 2025. Należy podkreślić, że oceniany lek (akoramidis) został dopuszczony do obrotu w lutym 2025 r., w związku z czym nie został ujęty w zaleceniach wydanych wcześniej (PTK 2023, WHF 2023). W leczeniu pacjentów z ATTR-CM, wszystkie wytyczne zgodnie zalecają stosowanie tafamidisu, przy czym wytyczne z 2023 r. wskazują tafamidis jako lek pierwszego wyboru (PTK 2023 - niezależnie od współwystępowania polineuropatii, WHF 2023 – chorzy w klasach I-III NYHA, szczególnie I-II stanowią kandydatów do leczenia). Natomiast pozostałe, bardziej aktualne wytyczne zalecają równorzędnie stosowanie akoramidisu, tafamidisu oraz wutrisiranu. Wytyczne amerykańskie ACC 2025 wskazują na brak wystarczających dowodów na przewagę którejkolwiek z wymienionych terapii modyfikujących przebieg choroby (kryteria kwalifikacji obejmują m.in. objawową niewydolność serca odpowiadającą klasie I-III NYHA), a ich wybór powinien być zależny od ceny/wysokości refundacji, dostępności, czy preferowanej przez pacjenta drogi podania. Wytyczne iCARDIO 2025 wskazują na silną, równorzędną rekomendację dla wszystkich trzech terapii. Wytyczne SPC 2025 również siłą zaleceń pozycjonują wymieniane terapie równorzędnie – zalecają ich stosowanie u pacjentów z chorobą w klasie I-II NYHA [I, B], natomiast należy rozważyć ich zastosowanie w przypadku obecności choroby

w klasie III NYHA [IIa, B]. Dodatkowo, wskazano, iż należy rozważyć zastosowania patisiranu u pacjentów z ATTRwt/ATTRv-CM w klasie I-II NYHA (niższa siła zaleceń – IIa, B).

#### *Rekomendacje refundacyjne*

Odnaleziono dziesięć rekomendacji refundacyjnych dla przedmiotowego wskazania: pozytywną francuską HAS 2025 oraz warunkowo pozytywne: hiszpańską CIMP 2025, duńską Medicinrådet 2025, fińską Kela 2025, szwedzką TLV 2025, niderlandzką ZN 2025, angielską NICE 2026, portugalską Infarmed 2026 i norweską Nye Metoder 2026, a także dokument G-Ba/IQWIG 2025 dot. dodatkowej korzyści klinicznej wnioskowanego leku. W ww. rekomendacjach wskazuje się na porównywalny lub równoważny do tafamidisu profil skuteczności i bezpieczeństwa akoramidisu oraz zapewniane przez ten lek częściowe zaspokojenie potrzeby medycznej. Wszystkie odnalezione rekomendacje poza dokumentem HAS 2025 uzależniały finansowanie akoramidisu od uściślenia kryteriów włączenia i wyłączenia z leczenia i zastosowania mechanizmów obniżania kosztów. G-Ba/ IQWIG uznaje, że w świetle dostarczonych danych nie jest możliwe udowodnienie dodatkowej korzyści klinicznej akoramidisu.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Beyontra w ocenianym wskazaniu jest finansowany w 10 krajach UE i EFTA (Austria, Belgia, Bułgaria, Dania, Finlandia, Irlandia, Luksemburg, Niemcy, Szwecja, Włochy).

#### **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 21.11 2025 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.2318.2025.10.DGO), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego produktu Beyontra (akoramidis), w ramach programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)” na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 28/2026.

ZASTĘPCA PREZESA

Anna Kowalczuk

*/dokument podpisany elektronicznie/*

#### **Piśmiennictwo**

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 28/2026.
2. Wniosek o objęcie refundacją leku Beyontra (akoramidis) we wskazaniu leczenie dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej, w ramach programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”. Analiza weryfikacyjna OTAP.423.2.4.2025. Data ukończenia: 17.02.2026 r..