



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 28/2026 z dnia 2 marca 2026 roku
w sprawie oceny leku Beyontra (acoramidisum) w ramach programu
lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią
(ICD-10: E85, I42.1)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Beyontra (acoramidisum), tabletki powlekane, 356 mg, 120 sztuk, GTIN 04057598029926, we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej w I-II klasie NYHA, w ramach programu lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Amyloidoza transtyretynowa serca (ATTR-CM) to infiltracyjna postać kardiomiopatii wywołana odkładaniem się w mięśniu sercowym nierozpuszczalnych włókien amyloidowych powstających z nieprawidłowo zmienionej transtyretyny (TTR). 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., ale występuje również postać dziedziczna.

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.

Aktualnie podstawą terapii przyczynowej jest tafamidis (stabilizator tetrameru TTR), który redukuje śmiertelność i hospitalizacje kardiologiczne, szczególnie jeśli leczenie rozpocznie się we wczesnych klasach NYHA. Dostępne są także nowe terapie: akoramidis oraz wutrisyran (RNAi), z potwierdzoną skutecznością w badaniach klinicznych. Leczenie objawowe obejmuje głównie diuretyki pętłowe i optymalizację stylu życia.

Akoramidis jest specyficznym stabilizatorem TTR, chroniący przed chorobą wariant genetyczny (T119M) poprzez tworzenie wiązań wodorowych z sąsiadującymi resztami seryny w obu miejscach wiązania tyroksyny w tetramerze.

Dowody naukowe

Kluczowe wyniki analizy skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa akoramidisu względem aktualnego komparatora, tj. tafamidisu w ramach leczenia dorosłych chorych z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) zostały przygotowane w oparciu o porównanie pośrednie metodą Buchera na podstawie RCT ATTRibute-CM (dla akoramidisu vs placebo) i RCT ATTR-ACT (dla tafamidisu [wyniki dla połączonych dawek] vs placebo).

W hierarchicznej ocenie skuteczności obejmującej zgon z dowolnej przyczyny oraz hospitalizację z przyczyn sercowo-naczyniowych, analiza metodą Buchera wykazała wynik nieistotny statystycznie (WR=0,88; 95%CI: 0,58; 1,33; p=0,5527), co wskazuje na brak przewagi którejkolwiek terapii. Również osobne porównania dla zgonów (OR=1,23; 95%CI: 0,70; 2,18; p=0,4734) oraz dla hospitalizacji sercowo-naczyniowych (OR=0,68; 95%CI: 0,40; 1,15; p=0,1508) nie wykazały istotnych różnic. W zakresie funkcjonalności, w pośrednim porównaniu wynik testu 6-minutowego marszu (6-MWT) był na korzyść dla tafamidisu, wskazując na lepszą tolerancję wysiłku (LSMD=-36,08; 95%CI: -62,00; -10,16; p=0,0064). Natomiast jakość życia mierzona kwestionariuszem KCCQ-OS nie różniła się istotnie pomiędzy terapiami (LSMD=-3,71; 95%CI: -9,47; 2,05; p=0,2066).

Z kolei, wyniki porównania bezpośredniego akoramidisu z placebo na podstawie RCT ATTRibute-CM (okres obserwacji: 30 mies.) wykazują istotną statystycznie przewagę w zakresie większości analizowanych punktów końcowych. W hierarchicznej ocenie skuteczności obejmującej zgon z dowolnej przyczyny, hospitalizację z przyczyn sercowo-naczyniowych, NT-proBNP oraz test 6-MWT, stwierdzono istotną statystycznie przewagę akoramidisu (WR=1,8; 95%CI: 1,4; 2,2; p<0,001). Akoramidis poprawiał także wydolność wysiłkową mierzoną 6-MWT (LSMD=39,60; 95%CI: 21,10; 58,20; p<0,001) oraz jakość życia pacjentów zgodnie z KCCQ-OS (LSMD=9,94; 95%CI: 5,97; 13,91; p<0,001).

W analizie bezpieczeństwa zgodnie z wynikami porównań pośrednich metodą Buchera, oba oceniane leki wykazały ogólnie porównywalny profil ryzyka, natomiast różni się charakterem obserwowanych zdarzeń niepożądanych

zaistniałych w trakcie leczenia (TEAEs). Akoramidis charakteryzował się rzadziej występującymi zaburzeniami serca (OR=0,56; 95%CI: 0,33; 0,96; p=0,0348), natomiast tafamidis, korzystniejszym profilem dotyczącym 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 moczanową (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).

Wytyczne kliniczne

Akoramidis jest zalecany jako jedna z alternatywnych terapii w amerykańskich wytycznych ACC z roku 2025 oraz w wytycznych iCARDIO z 2025 roku. W polskich wytycznych PTK z roku 2023 jest podany jako ewentualna alternatywa dopiero w trakcie badań klinicznych.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, objęcie refundacją produktu leczniczego Beyontra w wariantcie podstawowym spowoduje [redacted] wydatków NFZ w wariantcie z RSS o [redacted] w II roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono siedem 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 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.

Główne argumenty decyzji

- Wyniki badań klinicznych wskazujące na podobny profil bezpieczeństwa i skuteczności do refundowanego już komparatora (tafamidisu);
- Neutralny wobec leczenia tafamidisem wpływ na budżet płatnika;
- Wytyczne towarzystw naukowych.

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 2025 r. poz. 907 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 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.423.2.4.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Beyonttra (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)«”, data ukończenia: 17.02.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Bayer sp. z o. o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Bayer sp. z o. o.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b i art. 35a 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.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Bayer sp. z o. o.