



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 58/2026 z dnia 4 maja 2026 roku
w sprawie oceny leku Lokelma (sodium zirconium cyclosilicate)
we wskazaniu dot. leczenia hiperkaliemii

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Lokelma (sodium zirconium cyclosilicate), proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 30 saszetek 5 g, GTIN: 05000456088428, we wskazaniu: leczenie hiperkaliemii u dorosłych pacjentów w przebiegu:

- *przewlekłej choroby nerek w stopniu 3a-5, u chorych przyjmujących leki z grupy inhibitorów układu renina-angiotensyna-aldosteron (ACEi/ARB) lub brakiem możliwości zastosowania tych leków;*
- *przewlekłej niewydolności serca, u chorych przyjmujących leki z grupy inhibitorów układu renina-angiotensyna-aldosteron (ACEi/ARB/ARNi) i/lub antagonistów receptora mineralokortykoidów (MRA) lub brakiem możliwości zastosowania tych leków.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku Lokelma (sodium zirconium cyclosilicate), do leczenia hiperkaliemii u dorosłych chorych w przebiegu przewlekłej choroby nerek i przewlekłej niewydolności serca. Wnioskowane wskazanie jest rozszerzone o stadium 3a, względem aktualnie obowiązującego zakresu refundacji (stadium 3b-5).

Problem zdrowotny

Hiperkaliemia jest stosunkowo częstym problemem klinicznym występującym w populacji ogólnej. Jej rzeczywista częstość nie jest dokładnie znana; szacuje się jednak, że dotyczy około 1–10% populacji.

W ujęciu klinicznym za hiperkaliemię uznawane jest stężenie potasu w surowicy powyżej 5,0 mEq/l (mmol/l). Zaburzenie to można dodatkowo klasyfikować według stopnia nasilenia jako: łagodne (K^+ 5,0–5,5 mEq/l), umiarkowane (K^+ 5,5–6,0 mEq/l) oraz ciężkie ($K^+ \geq 6,0$ mEq/l).

Hiperkaliemia stanowi częste zaburzenie elektrolitowe u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek (PChN), którego ryzyko narasta wraz z postępem choroby oraz spadkiem wartości eGFR. Stan ten wiąże się z niekorzystnym rokowaniem, w tym ze zwiększonym ryzykiem zaburzeń rytmu serca, hospitalizacji oraz zgonu. Częstość występowania hiperkaliemii jest szczególnie wysoka u chorych leczonych inhibitorami układu renina–angiotensyna–aldosteron (ang. renin–angiotensin–aldosterone system inhibitors, RAASi), które mogą sprzyjać wzrostowi stężenia potasu i tym samym ograniczać możliwość ich dalszego stosowania. W badaniach populacyjnych częstość hiperkaliemii wśród pacjentów z eGFR <30 ml/min/1,73 m² waha się od kilku do kilkudziesięciu procent.

Inhibitory RAAS stanowią jedną z częstszych przyczyn hiperkaliemii w populacji pacjentów kardiologicznych. Inhibitory konwertazy angiotensyny (ang. angiotensin-converting-enzyme inhibitors, ACEI) oraz antagoniści receptora angiotensyny II typu 1 (ang. angiotensin receptor blocker, ARB) sprzyjają rozwojowi hiperkaliemii poprzez hamowanie wydzielania aldosteronu zależnego od angiotensyny II w korze nadnerczy. Dodatkowo leki te mogą obniżać filtrację kłębuszkową. Antagoniści receptora mineralokortykoidowego (MRA) działają poprzez blokowanie efektów aldosteronu, co skutkuje zmniejszonym nerkowym wydalaniem potasu i zwiększonym ryzykiem hiperkaliemii. U pacjentów z niewydolnością serca, przewlekłą chorobą nerek lub w przypadku podwójnej blokady układu RAAS, częstość występowania hiperkaliemii jest wyraźnie wyższa i mieści się w zakresie 5–10%.

Alternatywne technologie medyczne

U pacjentów z hiperkaliemią i PChN aktualne wytyczne praktyki klinicznej zalecają w pierwszej kolejności interwencje: modyfikację diety, przegląd przyjmowanych leków, zastosowanie diuretyków oraz leków wiążących potas (m.in. patiromer i cyklokrzemian sodowo-cyrkonowy), a także leczenie kwasicy metabolicznej, traktując redukcję dawki lub odstawienie RAASi jako ostateczność. Ponadto, w niektórych wytycznych (UKKA 2023, NICE 2021) wskazuje się, że terapia z wykorzystaniem patiromeru i cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego jest zalecana u pacjentów z utrzymującą się hiperkaliemią oraz PChN w stadium 3b–5.

U pacjentów z hiperkaliemią i niewydolnością serca rekomenduje się leczenie hiperkaliemii w sposób umożliwiający utrzymanie terapii RAASi/MRA, z zastosowaniem leków wiążących potas. Wytyczne UKKA 2023 dopuszczają patiromer u pacjentów, którzy nie mogą stosować RAASi z powodu hiperkaliemii (brak analogicznego zalecenia dla cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego).

Eksperti ankietowani przez Agencję, spójnie wskazują patiromer jako alternatywną technologię medyczną. Dodatkowo jeden z ekspertów wymienia

również postępowanie niefarmakologiczne oraz modyfikację farmakoterapii jako opcje kontrolowania hiperkaliemii.

Dowody naukowe

Przedstawione przez wnioskodawcę główne dowody naukowe (badanie HARMONIZE i ZS-003) były już przedmiotem oceny w ramach ubiegania się o objęcie finansowaniem ocenianej interwencji we wskazaniu: „leczenie hiperkaliemii u dorosłych pacjentów w przebiegu przewlekłej choroby nerek w stopniu 3b-5, u chorych przyjmujących leki z grupy inhibitorów układu renina-angiotensyna-aldosteron (inhibitory ACE oraz inhibitory receptora dla angiotensyny)” – jest to aktualne wskazanie refundacyjne.

Wnioskodawca nie przedłożył nowych dowodów, które umożliwiłyby wiarygodne wnioskowanie w kontekście populacji, dla której wnosi się o rozszerzenie wskazania refundacyjnego.

Wnioskodawca nie przedstawił porównania z patiromerem (PAT). Autorzy publikacji Desai 2024 oceniali, czy stosowanie cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego (SZC) – leku wiążącego potas z wymianą sodu, wiąże się z większym ryzykiem zdarzeń zależnych od retencji sodu i płynów w porównaniu z PAT, który wymienia potas na wapń. We wszystkich analizach ryzyko niewydolności serca, ciężkiego obrzęku i zgonu było istotnie większe u pacjentów leczonych SZC niż PAT. Opisany efekt występował zarówno u chorych z wyjściową niewydolnością serca, jak i bez niej. Publikacja Fu 2024 potwierdza różnice w profilu bezpieczeństwa cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego i patiromeru.

Wytyczne kliniczne

U pacjentów z hiperkaliemią i przewlekłą chorobą nerek (PChN), aktualne wytyczne praktyki klinicznej zalecają: modyfikację diety, przegląd przyjmowanych leków, zastosowanie diuretyków oraz leków wiążących potas (m.in. patiromer i cyklokrzemian sodowo-cyrkonowy), a także korekcję kwasicy metabolicznej (jeśli występuje), traktując redukcję dawki lub odstawienie RAASi jako ostateczność.

Rekomendacje HTA w przeważającej mierze dotyczą ogólnego wskazania leczenia hiperkaliemii u dorosłych, co w istotnym stopniu ogranicza możliwość ich bezpośredniego odniesienia do wnioskowanego wskazania. Pozytywne stanowiska (G-BA, HAS oraz jedno warunkowe NICE) wskazują na skuteczność cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego w obniżaniu stężenia potasu oraz potencjalną możliwość utrzymania terapii RAASi, jednak jednocześnie – zarówno w rekomendacji negatywnej (CADTH), jak i w zastrzeżeniach do rekomendacji pozytywnych – podkreślono istotne luki dowodowe, obejmujące brak porównań z odpowiednim komparatorem oraz brak danych dotyczących wpływu leczenia na przeżycie, zdarzenia sercowo-naczyniowe i jakość życia. Ze względu na wspomniane ograniczenia w rekomendacji NICE zaproponowano istotne

zawężenie populacji kwalifikowanej do refundacji (m.in. do pacjentów z PChN w stadium 3b-5). Wytyczne UK Kidney Association (UKKA) z 2023 roku wskazują, że patiromer powinien być opcją leczenia utrzymującej się hiperkaliemii ($K^+ \geq 6,0$ mmol/l) u dorosłych z PChN w stadium 3b-5 (niedializowanych) lub niewydolnością serca, którzy otrzymują suboptymalną dawkę lub nie mogą otrzymywać leczenia RAASI z powodu hiperkaliemii. W przewlekłej chorobie nerek w stadium 3a, potrzeba stosowania leków wiążących potas prawdopodobnie dotyczy tylko wybranych przypadków, stanowiących kilka procent populacji chorych w tym stadium.

Problem ekonomiczny

Przedstawione przez wnioskodawcę, jak i przez ekspertów oszacowania liczebności populacji, u której byłby stosowany cyklokrzemian sodowo-cyrkonowy (SZC) obarczone są znaczną niepewnością, co utrudnia wnioskowanie dotyczące rzeczywistej liczebności pacjentów, którzy będą stosować SZC w ocenianym wskazaniu.

Według obliczeń analityków Agencji, prognozowany [] wydatków całkowitych, w przypadku uwzględnienia RSS, wyniesie w I roku ok. [] PLN dla populacji z PChN i ok. [] PLN dla populacji z niewydolnością serca, a w II roku ok. [] PLN dla populacji z PChN i ok. [] PLN dla populacji z niewydolnością serca.

Analitycy Agencji przedstawili także obliczenia własne z wykorzystaniem alternatywnych wartości parametrów.

Wg tych obliczeń, przyjęcie Wariantu 2 ([]) skutkuje [] wydatków o ok. [] PLN w I roku oraz o ok. [] PLN w II roku w stosunku do analizy podstawowej.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono trzy rekomendacje pozytywne (w tym jedną pozytywną warunkowo) i jedną rekomendację negatywną. Należy podkreślić, że większość rekomendacji odnosi się do ogólnego wskazania: leczenie hiperkaliemii u dorosłych pacjentów. W rekomendacjach pozytywnych zwraca się uwagę na udowodnioną skuteczność SZC w zakresie obniżania oraz normalizacji stężenia potasu w surowicy. Podkreśla się, że zastosowanie SZC może umożliwić pacjentom kontynuowanie terapii RAASI (stosowanej w leczeniu niewydolności serca i przewlekłej niewydolności nerek). W rekomendacji negatywnej oraz w zastrzeżeniach do rekomendacji pozytywnych zwraca się uwagę głównie na ograniczenia dostępnych dowodów klinicznych, m.in. brak porównania z odpowiednim komparatorem, brak danych dotyczących wpływu leczenia na przeżycie chorych, zdarzenia sercowo-naczyniowe oraz jakość życia. W rekomendacji NICE proponuje się zawężenie kryteriów refundacyjnych

do pacjentów z PChN w stadium 3b-5 (nie dializowanych) lub z niewydolnością serca, ze stężeniem potasu w surowicy wynoszącym co najmniej 6,0 mmol, którzy z powodu hiperkaliemii nie otrzymują optymalnej dawki RAASI.

Według wnioskodawcy, lek Lokelma jest finansowany w 12 krajach (na 30 wskazanych) do stosowania u pacjentów z PChN i z niewydolnością serca.

Główne argumenty decyzji

- Brak dowodów naukowych, które umożliwiłyby wiarygodne wnioskowanie o rozszerzenie populacji chorych kwalifikujących się do wskazania refundacyjnego.*
- Aktualne rekomendacje HTA w przeważającej mierze dotyczą ogólnego wskazania leczenia hiperkaliemii u dorosłych, co w istotnym stopniu ogranicza możliwość ich bezpośredniego odniesienia do wnioskowanego wskazania. O konieczności włączenia Lokelma do terapii nie przesądza stadium choroby, lecz hiperkaliemia niemożliwa do skorygowania innymi metodami terapii.*
- Rozszerzone i mające ogólny charakter wskazania refundacyjne mogą stwarzać ryzyko stosowania leku poza ściśle określoną, wąską populacją pacjentów, u której leczenie jest uzasadnione klinicznie.*
- Trudne do oszacowania obciążenie budżetu płatnika.*

Uwagi Rady:

W zaleceniach dotyczących refundacji Lokelma, oprócz określania stadium choroby należy akcentować nieskuteczność standardowych działań zmierzających do obniżenia stężenia potasu.

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: OTLI.4130.1.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lokelma (sodu cyrkonu cyklokrzemian) we wskazaniu: Leczenie hiperkaliemii u dorosłych pacjentów w przebiegu: - przewlekłej choroby nerek w stopniu 3a-5, u chorych przyjmujących leki z grupy inhibitorów układu renina-angiotensyna-aldosteron (ACEi/ARB) lub brakiem możliwości zastosowania tych leków; - przewlekłej niewydolności serca, u chorych przyjmujących leki z grupy inhibitorów układu renina-angiotensyna-aldosteron (ACEi/ARB/ARNi) i/lub antagonistów receptora mineralokortykoidów (MRA) lub brakiem możliwości zastosowania tych leków”, data ukończenia: 22 kwietnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy AstraZeneca AB.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AstraZeneca AB) 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: AstraZeneca AB.