



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 61/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
w sprawie oceny leku Wainzua (eplontersen) w ramach programu
lekowego B.170. „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią
w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej
amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Wainzua (eplontersen), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 45 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05000456084918 w ramach programu lekowego B.170. „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Wainzua (eplontersen) we wskazaniu leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1).

Eplontersen powoduje degradację mRNA transtyretyny (TTR) i w efekcie hamuje jej syntezę w wątrobie, co skutkuje znacznym zmniejszeniem stężenia zmutowanego białka TTR i białka TTR. Jest stosowany w leczeniu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej u dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stopniu zaawansowania. Produkt leczniczy Wainzua (eplontersen) został dopuszczony do obrotu w UE, 6 marca 2025 r. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla produktu leczniczego Wainzua jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Lek podawany jest podskórnie co 4 tygodnie. Do programu lekowego B.170 są kwalifikowane osoby w wieku 18 lat lub więcej z rozpoznaną dziedziczną postacią amyloidozy transtyretynowej (ATTR) potwierdzoną wynikiem badania genetycznego i stwierdzoną polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania. Kryteria włączenia do programu lekowego B.170 dla leku eplontersen są takie same, jak dla leku aktualnie refundowanego w ramach tego programu tj. wutrisyranu.

Dziedziczna amyloidoza transtyretynowa (hATTR) należy do chorób rzadkich. Dziedziczna amyloidoza transtyretynowa z polineuropatią (hATTR-PN) to ciężka, heterogenna choroba wieloukładowa z dominującym uszkodzeniem obwodowego układu nerwowego, spowodowana mutacjami w genie kodującym transtyretynę (TTR). Na skutek polineuropatii dochodzi do osłabienia i zaniku mięśni kończyn, utraty możliwości chodzenia, aż do całkowitego unieruchomienia chorego. Choroba prowadzi do przedwczesnego zgonu. W terapii polineuropatii w I i II stadium zaawansowania w przebiegu hATTR podstawą jest leczenie mające na celu modyfikację przebiegu choroby polegające na stosowaniu stabilizatorów transtyretyny (tafamidis, diflunizal) lub leków wyciszających gen TTR (wutrisyran, patisyran, inotersen, eplontersen). Spośród wymienionych leków, w programie lekowym B.170. refundowany jest tylko produkt leczniczy Amvuttra (wutrisyran) od kwietnia 2025 roku. Zgodnie z danymi NFZ, w 2025 roku lekiem tym w programie lekowym B.170. leczonych było 6 pacjentów z hATTR-PN w I lub II stadium zaawansowania.

MZ zwróciło się z prośbą o przeanalizowanie zasadności implementacji ogólnego zapisu o możliwości leczenia amyloidozy jedynie w monoterapii „W ramach programów lekowych dedykowanych amyloidozie transtyretynowej finansuje się terapię jednym lekiem (monoterapia)”.

Dowody naukowe

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak badań bezpośrednio porównujących eplontersen z komparatorem aktualnie refundowanym w ramach programu lekowego B.170. tj. wutrisyranem.

Analizę oparto na porównaniu pośrednim eplontersenu (badanie RCT NEURO-TTRansform) i wutrisyranu (badanie RCT HELIOS-A). Badania charakteryzują się umiarkowaną jakością i zostały przeprowadzone na nielicznej grupie pacjentów (ok. 100 w każdym badaniu). Nie wykazano istotnych różnic w skuteczności terapeutycznej leków w zakresie oceny nasilenia neuropatii według skali mNIS+7, stężenia TTR w surowicy w stanie stacjonarnym, oceny ogólnej niepełnosprawności według skali R-ODS, oceny stanu odżywienia według mBMI oraz oceny prędkości chodu według 10-MWT. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic w występowaniu ciężkich zdarzeń niepożądanych, zdarzeń niepożądanych o dużym nasileniu oraz zdarzeń niepożądanych prowadzących do przerwania leczenia. Ze względu na brak porównania bezpośredniego, wnioskowanie o braku różnic ma wartość ograniczoną.

Ze względu na to, że eplontersen został zarejestrowany przez EMA w marcu 2025 roku, a przez amerykańskie FDA w grudniu 2023 roku, rekomendacje z poszczególnych regionów opublikowane przed datą rejestracji leku nie uwzględniają jego zastosowania w zaleceniach. Wytyczne amerykańskie

Karam 2024 wskazują na stosowanie terapii wyciszających ekspresję genu TTR jako leczenie pierwszej linii u pacjentów z ATTRv przebiegającą z polineuropatią, w tym eplontersenu, bez rozróżniania preferencji między poszczególnymi lekami. Zgodnie z wytycznymi eplontersen jest stosowany w monoterapii u pacjentów z hATTR-PN.

Problem ekonomiczny

Według oszacowań wnioskodawcy w wariancie podstawowym, z uwzględnieniem RSS, zastosowanie produktu leczniczego Wainzua w porównaniu z terapią lekiem Amvuttra prowadzi do obniżenia kosztów, generując oszczędności w wysokości [REDACTED] na rok. Wartość urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Wainzua, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii opcjonalnej wynosi [REDACTED]. Zdaniem Agencji [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wpływ na budżet płatnika

Przewidywana liczba pacjentów w I i II roku wyniesie odpowiednio [REDACTED] w grupie Wainzua i Amvuttra.

Według oszacowań wnioskodawcy w wariancie z uwzględnieniem RSS, wprowadzenie finansowania produktu leczniczego Wainzua w analizowanym wskazaniu będzie wiązało się z oszczędnościami dla płatnika publicznego wynoszącymi [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy. Natomiast [REDACTED]

[REDACTED] wprowadzenie refundacji dla produktu leczniczego Wainzua będzie [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED].

Rekomendacje refundacyjne

We wnioskowanym wskazaniu Wainzua (eplontersen) jest refundowany w 6 na 30 krajów UE i EFTA. Odnaleziono 3 rekomendacje pozytywne warunkowo tj. brytyjską NICE 2024, kanadyjską CDA-AMC 2024 oraz francuską HAS 2025. Ponadto odnaleziono 2 niemieckie dokumenty IQWiG 2025 oraz GBA 2025, w których wskazano, że dodatkowa korzyść eplontersenu w porównaniu z właściwą terapią porównawczą nie została udowodniona.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak wysokiej jakości badań bezpośrednio porównujących skuteczność terapeutyczną i bezpieczeństwo stosowania leku Wainzua względem obecnie dostępnego komparatora;*
- *Dostępność nowoczesnego leczenia w programie lekowym B. 170.;*
- *Wzrost wydatków płatnika publicznego.*

Uwaga do programu lekowego B.170:

Rada proponuje wprowadzenie do programu lekowego zapisu o możliwości leczenia amyloidozy jedynie w monoterapii.

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: OTAD.4131.5.2026 »Wniosek o objęcie refundacją leku Wainzua (eplontersen) w ramach programu lekowego B.170. „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)«”; data ukończenia: 28 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.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Medison Pharma sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Medison Pharma 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 2022 r., 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) i , 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: Medison Pharma sp. z o.o.