



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 75/2026 z dnia 8 czerwca 2026 roku
w sprawie oceny leku Amvuttra (vutrisiran) w ramach programu
lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią
(ICD-10: E85, I42.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Amvuttra (vutrisiran), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 25 mg/0,5 ml, GTIN 04150181110077, we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej z niewydolnością serca w klasach czynnościowych I-III NYHA w ramach istniejącego programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wnioskowaną technologią jest Amvuttra (wutrisyran), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 25 mg/0,5 ml, GTIN 04150181110077 podawany podskórnie w leczeniu kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej w ramach istniejącego programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Wutrisyran to ustabilizowany chemicznie, dwuniciowy, mały interferujący kwas rybonukleinowy (siRNA), którego działanie jest ukierunkowane swoiście na mRNA kodujący wariantową i (lub) niezmutowaną (dzikiego typu) transtyretynę (TTR). Obecny w leku ligand umożliwia dostarczenie siRNA do hepatocytów. Interferując z RNA, wutrisyran wywołuje rozpad mRNA TTR w wątrobie, a w efekcie zmniejszenie stężenia w surowicy wariantowego i amyloidogennego białka TTR typu dzikiego, a tym samym zmniejszenie odkładania się amyloidu TTR w tkankach.

Problem zdrowotny

Amyloidozą transtyretynową serca (ATTR-CM) to postać kardiomiopatii wywołana odkładaniem się w mięśniu sercowym nierozpuszczalnych włókien

amyloidowych powstających z nieprawidłowo zmienionej transtyretyny (TTR). Prowadzi do sztywności mięśnia sercowego, zaburzeń napełniania jam serca i w konsekwencji do niewydolności serca. Wyróżnia się dwie formy: dzikiego typu (ATTRwt) oraz dziedziczną (ATTRv). W początkowych klasach NYHA objawy są skąpe lub nieswoiste, co utrudnia rozpoznanie. Do najczęstszych należą: postępująca duszność wysiłkowa, łatwa męczliwość, kołatania serca, obrzęki obwodowe. 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 pętlowe i optymalizację stylu życia.

Alternatywne technologie medyczne

Za wybrany komparator dla wnioskowanej technologii wnioskodawca uznał leczenie tafamidisem (klasa czynnościowa NYHA I-II) oraz aktualne leczenie standardowe, tj. terapię podtrzymującą (BSC) w przypadku pacjentów w klasie NYHA III. Wybór ten jest zgodny z aktualnym statusem refundacyjnym oraz wytycznymi praktyki klinicznej. Alternatywną terapią jest także akoramidis, który ma zbliżony do tafamidisu mechanizm działania i uzyskał pozytywną warunkową rekomendację Prezesa Agencji (dla leku Beyonttra).

Epidemiologia

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.

Dowody naukowe

Dane na temat efektów klinicznych ocenianego leku pochodzą głównie z badania RCT HELIOS-B, w którym wykazano istotną statystycznie redukcję ryzyka wystąpienia pierwszorzędnego, złożonego punktu końcowego (zgon z dowolnej przyczyny lub zdarzenia sercowo-naczyniowe) względem placebo (HR=0,67), przy jednoczesnym niższym odsetku zdarzeń w grupie wutrisyranu (39 vs 53% dla 36 mies. okresu obserwacji). Efekt terapeutyczny miał charakter opóźniony i narastał w czasie, co było widoczne w stopniowej separacji krzywych Kaplana-Meiera. W analizie śmiertelności całkowitej wykazano istotne

statystycznie i klinicznie zmniejszenie ryzyka zgonu ($HR=0,66$; $p=0,045$ dla 42 mies. obserwacji), przy czym efekt ujawniał się po kilkunastu miesiącach leczenia i utrzymywał w dłuższym okresie obserwacji. W odniesieniu do jakości życia (KCCQ-OS) odnotowano istotną statystycznie przewagę wutrisyranu (różnica 8,7 pkt vs. placebo; $p<0,001$), wskazującą na spowolnienie pogorszenia stanu zdrowia pacjentów. W analizie zmiany klasy NYHA, nieco większy odsetek pacjentów w grupie wutrisyranu osiągał stabilizację lub poprawę stanu klinicznego (66 vs 56%). Jednocześnie w podgrupach, szczególnie w klasie NYHA III, obserwowane korzyści w grupie leczonej wutrisyranem nie osiągały istotności statystycznej, co być może wiązało się z małą liczebnością pacjentów.

Porównania pośrednie

Nie odnaleziono badań bezpośrednio (head-to-head) porównujących wutrisyran z tafamidisem lub akoramidisem. Z dostępnych porównań pośrednich wynika, że efekty kliniczne tafamidisu, akoramidisu i wutrisyranu są bardzo podobne – brak istotnych statystycznie różnic.

Wytyczne kliniczne

Amerykańskie wytyczne kliniczne ACC 2025 oraz globalne wytyczne iCARDIO 2025 uznają za równorzędne wobec siebie terapie modyfikujące przebieg choroby z zastosowaniem tafamidisu, akoramidisu lub wutrisyranu.

Problem ekonomiczny

W wariancie z RSS w populacji uwzględniającej chorych w klasach czynnościowych NYHA I-II ICUR wyniósł [redacted] w perspektywie NFZ i wspólnej, natomiast w klasie czynnościowej NYHA III (BSC) ICUR wyniósł [redacted] oraz [redacted] odpowiednio w perspektywie NFZ i wspólnej. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Amvuttra w wariancie podstawowym spowoduje [redacted].

W aktualnej sytuacji, przy refundacji tafamidisu i (potencjalnie) akoramidisu, koszty terapii wutrisyranem nie powinny być wyższe niż wymienionych powyżej leków.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono siedem dokumentów zawierających rekomendacje refundacyjne dla przedmiotowego wskazania: pozytywną rekomendację francuską HAS 2026, warunkowo pozytywną: niderlandzką ZN 2025, angielską NICE 2025 i kanadyjską CDA-AMC 2026 oraz negatywne: hiszpańską CIMP 2025 i duńską Medicinrådet 2026, a także dokument G-Ba 2026 wskazujący na brak dodatkowej korzyści klinicznej wnioskowanego leku. Pozytywne rekomendacje uzasadniono skutecznością kliniczną i profilem bezpieczeństwa wutrisyranu zbliżonymi do tafamidisu i/lub akoramidisu oraz częściowym zaspokojeniem potrzeby medycznej. Poza rekomendacją HAS 2026 wszystkie odnalezione rekomendacje

uzależniały finansowanie wutrisyranu od uściślenia kryteriów włączenia i wyłączenia z leczenia oraz utrzymania proponowanych kosztów leku lub ich obniżenia. Negatywne rekomendacje wydano z uwagi na niekorzystny stosunek kosztów do efektów leczenia i dostępność technologii alternatywnych.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, na 30 krajów UE i EFTA, produkt leczniczy Amvuttra (wutrisyran) we wnioskowanym wskazaniu jest refundowany tylko w Niemczech.

Główne argumenty decyzji

- *Wyniki badań klinicznych wskazują, że wutrisyran ma podobną skuteczność do refundowanego już komparatora (tafamidisu).*
- *Brak danych dot. skuteczności praktycznej i bezpieczeństwa wutrisyranu.*
- *Wytyczne towarzystw międzynarodowych uznają za równorzędne wobec siebie terapie z zastosowaniem tafamidisu, akoramidisu lub wutrisyranu.*
- *Koszty terapii wutrisyranem są wielokrotnie wyższe niż koszty terapii tafamidisem.*
- *Refundacja wutrisyranu na zaproponowanych warunkach spowoduje bardzo duży wzrost obciążenia budżetu płatnika.*

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.4131.1.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Amvuttra (wutrisyran) 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: 27.05.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (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 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: Medison Pharma sp. z o.o.