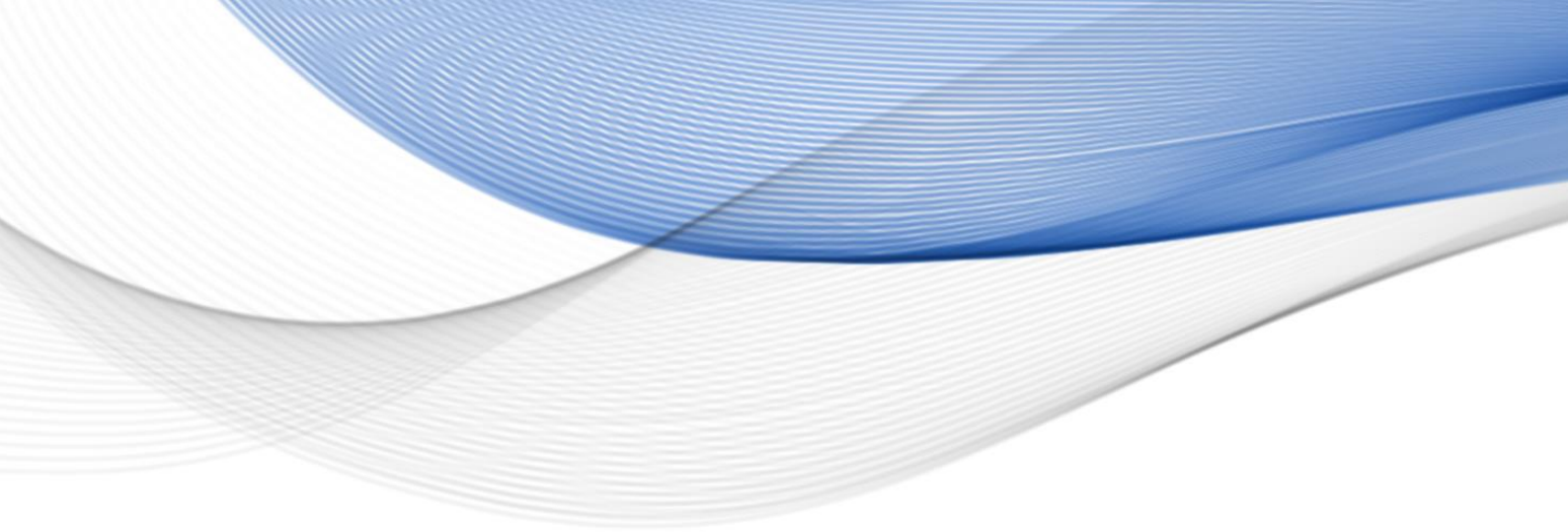




Veltassa® (patiromer) w leczeniu hiperkaliemii u pacjentów z PChN 3b-5 oraz pacjentów HFrEF

Odpowiedź na pismo OTAD.4130.3.2026 z dnia 08 września 2026 r.

Warszawa, wrzesień 2026

Autorzy

Klaudia Gołębiewska

Konsultanci

Tomasz Macioch

Maciej Niewada

Dane kontaktowe

HealthQuest spółka z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. z o.o.

ul. Mickiewicza 12/2A

01-517 Warszawa

tel/fax +48 22 468 05 34

kontakt@healthquest.pl

<http://www.healthquest.pl>

W nawiązaniu do pisma AOTMiT o sygnaturze OTAD.4130.3.2026 z dnia 08 września 2026 r. poniżej przedstawiamy odpowiedzi i wyjaśnienia odnośnie do uwag w nim zawartych.

Ad. 1 Informacje zawarte w analizach nie są aktualne na dzień złożenia wniosku (§ 2 Rozporządzenia):

- a) *Wyjaśnienie: Proszę o aktualizację zarządzeń DSOZ znajdujących się w analizie ekonomicznej. W analizie wykorzystano nieaktualne zarządzenie nr 32/2026/DSOZ podczas, gdy w momencie składania wniosku dostępne było zarządzenie nr 46/2026/DSOZ z dnia 30 kwietnia 2026 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne.*

Odpowiedź:

Zaktualizowano zarządzenie DSOZ w analizie ekonomicznej.

- b) *Proszę o uwzględnienie badania RWE Cantu-Martinez i in. Patiromer for Patients With Heart Failure at Risk of Hyperkalemia: CARE-HK in HF Registry. J Card Fail. 2026 Mar 26;S1071-9164(26)00184-3. doi: 10.1016/j.cardfail.2026.03.025. Epub ahead of print. PMID: 41903909, opublikowanego po dacie złożenia wniosku.*

Odpowiedź:

Ww. badanie zostało uwzględnione w analizie efektywności klinicznej.

Ad. 2 W analizach nie uwzględniono porównania ze wszystkimi technologiami opcjonalnymi (§ 4, § 5, § 6 Rozporządzenia):

- a) *Wybrany przez wnioskodawcę komparatorem jest standardowe postępowanie. Definicja zakresu standardowego postępowania w hiperkaliemii (SoC) jest niespójna w przedstawionych analizach. W APD SoC określono jako „postępowanie dietetyczne ograniczające K+” (tabela 11. APD). Podobnie w kryteriach selekcji badań pierwotnych w przeglądzie systematycznym w ramach AKL (tabela 3. AKL). Natomiast wg schematu PICO komparator stanowi „Standardowe postępowanie w postaci diety ograniczającej potas, ograniczenia intensywności leczenia RAASi oraz stosowania diuretyków nieoszczędzających potas”. W związku z powyższym prosimy o jednoznaczne zdefiniowanie zakresu standardowego postępowania (SoC) oraz jego ujednolicenie we wszystkich częściach analizy.*

Odpowiedź:

Ujednolicono zapis dotyczący komparatora we wszystkich częściach analizy.

- b) *W związku z niedawną oceną w AOTMiT w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Lokelma (sodu cyrkonu cyklokrzemian), min. we wskazaniu 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, proszę o przedstawienie dodatkowo porównania z sodu cyrkonu cyklokrzemianem, wskazywanym w wytycznych praktyki klinicznej na równi z patiromerem.

Odpowiedź:

Zwracamy uwagę, że cyklokrzemian sodowo-cyrkonowy **nie jest technologią refundowaną** we wnioskowanym wskazaniu. Wskazane przez analityków rozstrzygnięcie dt. wniosku refundacyjnego dotyczy innych wskazań (patrz tabela poniżej). Dodatkowo należy podkreślić, że rekomendacja Prezesa AOTMiT dla wskazania niewydolność serca jest negatywna. Zwracamy również uwagę, że w AWA do zlecenie MZ 15/2026 dla cyklokrzemian sodowo-cyrkonowy ocenia wybór technologii opcjonalnej zdefiniowanej jako postępowanie standardowe (ang. standard of care, SoC) jako Wybór prawidłowy (tabela 4 AWA, str. 20). Sytuacja cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego ocenianego w zleceniu MZ 15/2026 jest identyczna z obecną sytuacją wnioskowanej technologii. Mając na uwadze powyższe, nie jest w naszej opinii zasadna opinia analityków AOTMiT w zakresie nie uwzględnienia porównania ze wszystkimi technologiami opcjonalnymi.

Wskazanie	Patiromer	Cyklokrzemian sodowo-cyrkonowy	Komentarz
Niewydolność nerek	leczeniu hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek (PChN, ang. chronic kidney disease, CKD) w stadium 3b-5, u pacjentów niestosujących inhibitorów układu RA;	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;	Populacja wnioskowana jest znacznie węższa w przypadku patiromeru. Wniosek dla cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego dotyczy rozszerzenia wskazania o populację z PChN 3a, podczas gdy wnioskowane wskazanie dla patiromeru nie zmienia populacji docelowej w zakresie nasilenia PChN (3b-5) a jedynie umożliwia podanie leku w subpopulacji pacjentów niestosujących inhibitorów układu RA.
Niewydolność serca	leczeniu hiperkaliemii w przebiegu niewydolności serca z obniżoną frakcją wyrzutową (HFrEF, ang. heart failure with reduced ejection fraction), u których hiperkaliemia pomimo optymalizacji standardowego postępowania – w tym modyfikacji diety, przeglądu farmakoterapii, diuretyków i korekcji odwracalnych przyczyn – uniemożliwia wdrożenie, kontynuację lub optymalizację terapii ARNI / ACEi/ARB i/lub MRA zgodnie z wytycznymi ESC.	leczenie hiperkaliemii u dorosłych pacjentów w przebiegu 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.	Populacja wnioskowana jest znacznie węższa w przypadku patiromeru i dotyczy populacji z niewydolności serca z obniżoną frakcją wyrzutową i wskazuje precyzyjnie hiperkaliemię jako przyczynę uniemożliwia wdrożenie, kontynuację lub optymalizację terapii inhibitorami układu RAAs

Ad. 3 Analiza wpływu na budżet

1) *Analiza powinna zawierać oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 3, 6 i 7, oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonywane w szczególności na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2. W przypadku braku możliwości przedstawienia wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet powinna zawierać dodatkowy wariant, w którym oszacowania te zostały uzyskane w oparciu o inne dane (§ 6 pkt 3 Rozporządzenia).*

a) *Wyjaśnienie: W analizie wpływu na budżet w ramach analizy wrażliwości uwzględniono ograniczony zestaw testowanych parametrów. Dodatkowo w przyjętych scenariuszach analizy wrażliwości (1) brak ponownego leczenia paciromerem oraz (2) brak przerywania leczenia paciromerem, nie określono szczegółowo jaką zmianę ww. scenariusze uwzględniają względem analizy podstawowej. Dodatkowe wątpliwości wzbudza przyjęcie założenia, że każdy pacjent zużywa rocznie 1,85 (1,74-1,95) opakowania leku. Biorąc pod uwagę przewlekłość niewydolności nerek oraz niewydolności serca oraz istotność stosowania RAASi w hamowaniu progresji choroby oraz obniżaniu ryzyka powikłań sercowo-naczyniowych, przyjęte roczne zużycie opakowań wydaje się zaniżone. W badaniach włączonych do AKL leczenie trwało zwykle 4-12 tygodni, natomiast najdłuższe dane obejmowały około 1 roku stosowania paciromeru.*

Odpowiedź:

W analizie wrażliwości analizy wpływu na budżet (BIA) uwzględniono wyłącznie dwa scenariusze: (1) brak ponownego leczenia paciromerem oraz (2) brak przerywania leczenia paciromerem. Wybór ten wynikał z faktu, że tylko te dwa założenia miały bezpośrednie przełożenie na koszty ujmowane w BIA, a więc mogły realnie wpływać na oszacowania budżetowe. Pozostałe założenia badane w analizie ekonomicznej, choć w istotnym stopniu determinowały jej wyniki, nie zostały włączone do analizy wrażliwości BIA, ponieważ analiza wpływu na budżet nie uwzględniała kosztów powiązanych z tymi założeniami. Ich testowanie w tym kontekście nie wniosłoby zatem dodatkowej informacji o stabilności oszacowań budżetowych. Zakres analizy wrażliwości BIA został więc celowo ograniczony do tych parametrów, które faktycznie oddziałują na stronę kosztową modelu budżetowego.

W scenariuszu podstawowym (bazowym) leczenie paciromerem podlega dynamicznym regułom uzależnionym od poziomu potasu (K^+) w surowicy, co oznacza, że terapia może być zarówno przerywana, jak i wznowiana w zależności od osiągnięcia określonych progów decyzyjnych. Oba testowane scenariusze modyfikują te reguły – każdy poprzez zmianę jednego, precyzyjnie określonego założenia – co umożliwia izolowaną ocenę wpływu tych założeń na oszacowania budżetowe.

W scenariuszu (1), w odróżnieniu od scenariusza podstawowego, nie dopuszcza się ponownego rozpoczęcia leczenia paciromerem, nawet jeśli u pacjenta zostanie osiągnięty próg kwalifikujący do powtórnego leczenia, tj. stężenie potasu w zakresie $K^+ >5 - \leq 5,5$ mmol/l. W scenariuszu podstawowym osiągnięcie tego progu skutkowałoby wznowieniem terapii, natomiast w tym wariantcie ponowne leczenie pozostaje niedozwolone. Scenariusz ten pozwala ocenić wpływ na budżet sytuacji, w której pacjenci, którzy wcześniej przegrali leczenie, nie wracają do terapii paciromerem.

W scenariuszu (2), również w porównaniu ze scenariuszem podstawowym, leczenie patiromerem nie jest przerywane po osiągnięciu progu $K^+ \leq 5$ mmol/l. W scenariuszu bazowym spadek stężenia potasu do tego poziomu prowadziłby do przerywania terapii, podczas gdy w tym wariantcie leczenie jest kontynuowane mimo osiągnięcia progu przerywania. Scenariusz ten obrazuje konsekwencje budżetowe wydłużonej, nieprzerywanej terapii.

W związku z powyższym uzupełniono opis obu scenariuszy analizy wrażliwości w dokumencie analizy wpływu na budżet (BIA), doprecyzowując założenia różniące je od scenariusza podstawowego.

Odnosnie wątpliwości analityków AOTMiT dt. założenia, że każdy pacjent zużywa rocznie 1,85 (1,74-1,95) opakowania leku, to zwracamy uwagę, że wartości te wynikają z modelowania skuteczności leczenia (patrz model ekonomiczny). Warto podkreślić, że w badania kliniczne nie mogą stanowić źródła informacji o czasie trwania leczenia ponieważ realizują one z góry przyjęty protokół leczenia, który determinuje czas podawania leku. Zwracamy również uwagę, że o ile niewydolność serca i przewlekła choroba nerek są stanami przewlekłymi, o tyle hiperkaliemia jest stanem ostrym wymagającym pilnej korekty i leczenia, co oznacza, że pacjenci niewydolność serca i przewlekła choroba nerek nie są w stanie permanentnej hiperkaliemii a jedynie mają epizody tejże. Ocena klinicznej efektywności leczenia oraz reguła stop (ustąpienie hipokaliemii) determinuje krótszy czas leczenia patiromerem (jest on ograniczony do czasu występowania hiperkaliemii). Zwracamy również uwagę, że analiza dotychczasowej preskrypcji leków refundowanych w grupie limitowej 270.0 (Leki stosowane w leczeniu hiperkaliemii i hiperfosfatemi) w zestawieniu szacunkami epidemiologicznymi dla wskazania w którym leki z tej grupy są refundowane, stanowi dobra walidację przyjętych szacunków czasu terapii w realiach klinicznych. Zestawienie danych o których mowa powyżej, przy przyjęciu założonego czasu terapii wskazuje, że obecnie leczeniem objętych jest ponad 1/3 pacjentów wymagających terapii, co jest zgodne z prognozami ekspertów klinicznych (patrz analiza BIA oraz AWA do ZLC 90/2023). Zwracamy uwagę, że AOTMiT może zweryfikować niniejsze założenie poprzez dostęp do danych NFZ, które pozwalają na identyfikację przeciętnej liczby opakowań wykupionych przez pacjentów (dane niedostępne w omenie publicznej).

2) Analiza powinna zawierać zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań (§ 6 ust. 1 pkt 8 Rozporządzenia).

a) Wyjaśnienie: Tabela 4. BIA przedstawiająca odsetki pacjentów pozostających w terapii nie ma opisu wierszy.

Odpowiedź:

Dodano opis wierszy do Tabeli 4. w dokumencie analizy wpływu na budżet.

Ad. Dodatkowo zwracamy się z uprzejmą prośbą o uwzględnienie w analizach najnowszych rekomendacji klinicznych European Society of Cardiology (ESC 2026) z sierpnia 2026 roku, opublikowanych po dacie złożenia wniosku refundacyjnego.

Odpowiedź:

Uwzględniono ww. wytyczne w analizie problemu decyzyjnego.

Dokument został podpisany Profilem Zaufanym 2026-09-28 13:24:51 przez OPUCHLIK MICHAŁ.