Stanowisko Rady Przejrzystości nr 159/2026 z dnia 26 października 2026 roku w sprawie oceny leku Veltassa (patiromerum) we wskazaniu dot. leczenia hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek oraz w przebiegu niewydolności serca z obniżoną frakcją wyrzutową

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Veltassa (patiromerum), proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 8,4 g, 30 sasz., GTIN: 07640166811459, we wskazaniach:

- *w leczeniu hiperkaliemii 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) oraz*
- *leczenie hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek (PChN, ang. chronic kidney disease, CKD) w stadium 3b-5, u pacjentów niestosujących inhibitorów układu RA (reninaangiotensyna) oraz*
- *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,*

jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

<u>Problem decyzyjny</u>

Hiperkaliemia, najczęściej definiowana jako stężenie potasu w surowicy >5,0 mmol/l, jest częstym i potencjalnie zagrażającym życiu zaburzeniem

elektrolitowym u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek (PChN) oraz niewydolnością serca z obniżoną frakcją wyrzutową (HFrEF). W PChN wynika przede wszystkim z ograniczonej zdolności nerek do wydalania potasu, natomiast w HFrEF ryzyko hiperkaliemii zwiększają współistniejąca dysfunkcja nerek, cukrzyca oraz stosowanie leków modyfikujących rokowanie, zwłaszcza inhibitorów układu renina–angiotensyna–aldosteron (RAASi), w tym ACE-I/ARB/ARNI i MRA. Hiperkaliemia często prowadzi do redukcji dawki, odstawienia lub niewdrożenia terapii RAASi, co może pogarszać rokowanie nerkowe i sercowo-naczyniowe.

Postępowanie może obejmować ograniczenie podaży potasu w diecie, stosowanie diuretyków nieoszczędzających potasu u pacjentów z zachowaną diurezą oraz doustnych leków wiążących potas, takich jak patiromer i krzemian sodowo-cyrkonowy, a także polistyrenosulfonian sodu/polistyrenosulfonian wapnia.

Patiromer to niewchłanialny polimer ze zdolnością wymiany kationów, który jako przeciwjon zawiera kompleks wapń-sorbitol. Patiromer zwiększa wydalanie potasu w kale poprzez wiązanie potasu w świetle przewodu pokarmowego. Lek został dopuszczony do obrotu we wnioskowanych wskazaniach w roku 2017.

Lek Veltassa aktualnie jest już refundowany w leczeniu hiperkaliemii u dorosłych pacjentów w przebiegu przewlekłej choroby nerek w stopniu 3b-5, u chorych przyjmujących leki z grupy inhibitorów układu renina-angiotensyna-aldosteron (RAA, inhibitory ACE oraz inhibitory receptora dla angiotensyny). Natomiast przedmiotowa ocena odnosi się do rozszerzenia refundacji dla populacji z hiperkaliemią w przebiegu przewlekłej choroby nerek w stadium 3b-5, u pacjentów niestosujących inhibitorów układu RAA oraz leczeniu hiperkaliemią w niewydolności serca z obniżoną frakcją wyrzutową, u których hiperkaliemia pomimo standardowego postępowania uniemożliwia wdrożenie, kontynuację lub optymalizację terapii ARNI/ACEI/ARB i/lub MRA zgodnie z wytycznymi ESC. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Veltassa jest węższe niż wskazanie rejestracyjne (leczenie hiperkaliemii u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 do 17 lat).

Dostępne dane epidemiologiczne wskazują, że hiperkaliemia występuje istotnie częściej u pacjentów z PChN i HFrEF niż w populacji ogólnej. Dane epidemiologiczne dotyczące Polski są ograniczone. Na podstawie danych z piśmiennictwa oszacowano, że w populacji pacjentów z PChN w stadium 3b-5 występuje około 55 tys. epizodów hiperkaliemii rocznie, co odpowiada zapadalności około 21 przypadków na 100 osobolat. W populacji chorych z HFrEF liczba epizodów hiperkaliemii może wynosić około 155 tys. rocznie, przy szacowanej zapadalności 323,5 przypadków na 1000 osobolat.

Wnioskodawca wskazuje, że obecne ograniczenie refundacji w praktyce wyklucza stosowanie patiromeru w populacji pacjentów z PChN, u których nie ma wskazań do włączenia RASi, ale także uniemożliwia leczenia pacjentów, u których przerwano lub nie wdrożono leczenia RASi z powodu hiperkaliemii, a w populacji pacjentów z HFrEF brak dostępu do skutecznej terapii obniżającej stężenie potasu w surowicy, prowadzi do suboptymalnego leczenia z wykorzystaniem RAASi, a czasami uniemożliwia jego wdrożenie.

<u>Dowody naukowe</u>

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii medycznej wskazał standardowe postępowanie, obejmujące postępowanie dietetyczne ograniczające potas (K^+), nie odnosząc się do diuretyków, jako potencjalnego komparatora.

Badania CONTINUE-HF, PEARL-HF i DIAMOND obejmowały pacjentów z niewydolnością serca (HF) oraz hiperkaliemią lub zwiększonym ryzykiem jej wystąpienia. W CONTINUE-HF i DIAMOND uczestniczyli chorzy z HFrEF i LVEF ≤40%, u których hiperkaliemia utrudniała optymalizację leczenia MRA lub RAASi. W AMBER uwzględniono pacjentów z HFrEF i HFpEF.

Badania OPAL-HK, AMBER i Kashihara 2025 dotyczyły głównie pacjentów z PChN, a chorzy z niewydolnością serca stanowili wyodrębnione podgrupy, natomiast Kashihara 2025 obejmowało japońskich chorych z hiperkaliemią i zaawansowaną PChN, w tym pacjentów ze współistniejącą niewydolnością serca oraz niestosujących RAASi.

U pacjentów z PChN bez terapii RAASi w 1. tygodniu leczenia patiromer obniżał stężenie potasu w surowicy względem placebo (11 osób) u pacjentów z PChN nieotrzymujących RAASi (11 osób), jednak różnice dla dawek 8,4 g i 16,8 g nie były istotne statystycznie (Kashihara 2025).

W populacjach pacjentów z niewydolnością serca (HF) wykazano na ogół większe obniżenie stężenia potasu podczas leczenia patiromerem niż placebo. Istotne statystycznie korzyści odnotowano w badaniach PEARL-HF (po 4 tyg.), AMBER (po 12 tyg.), OPAL-HK (po 4 tyg.) oraz DIAMOND A (po 54 tyg.), natomiast w badaniu Kashihara 2025 po 1 tygodniu leczenia nie wykazano istotnych różnic względem placebo dla żadnej z ocenianych dawek patiromeru.

W populacji pacjentów z niewydolnością serca (HR) patiromer zmniejszał częstość występowania stężenia potasu ≥5,5 mmol/l w porównaniu z placebo. Istotne statystycznie różnice wykazano w badaniach PEARL-HF (7,3% vs 25,0%; OR=0,24; NNTB=5,64), OPAL-HK (7,4% vs 54,5%; OR=0,07; NNTB=2,12) oraz DIAMOND (18,7% vs 30,8%; OR=0,52; NNTB=8,24). Oznacza to, że leczenie odpowiednio około 6, 3 i 9 pacjentów pozwala zapobiec wystąpieniu zdarzenia u jednego dodatkowego pacjenta. W badaniu AMBER również obserwowano mniej zdarzeń w grupie patiromeru niż placebo (44,4% vs 60,9%; OR=0,51), jednak różnica nie była istotna statystycznie.

W analizowanych badaniach patiromer umożliwiał częstsze utrzymanie lub intensyfikację leczenia RAASi/MRA w porównaniu z placebo. Istotne statystycznie korzyści wykazano w badaniu OPAL-HK w zakresie kontynuacji terapii RAASi (100% vs 54,5%; OR=46,20; NNTB=2,20), w badaniu AMBER w zakresie kontynuacji spironolaktonu (84,1% vs 68,1%; OR=2,48; NNTB=6,25) i zmniejszenia częstości jego odstawienia (15,9% vs 31,9%; OR=0,40), a także w badaniu PEARL-HF w zakresie zwiększenia dawki spironolaktonu (90,9% vs 75,0%; OR=3,33; NNTB=6,29). W badaniu DIAMOND A patiromer istotnie zmniejszał ryzyko redukcji dawki MRA poniżej dawki docelowej (12,1% vs 24,4%; OR=0,43; NNTB=8,11), natomiast nie wykazano istotnej różnicy w odsetku pacjentów otrzymujących co najmniej 50% rekomendowanej dawki RAASi (92,9% vs 87,8%; OR=1,81). W abstrakcie CONTINUE-HF patiromer istotnie zwiększał szansę osiągnięcia lub utrzymania docelowej dawki MRA (OR=23; NNTB=2).

W badaniach CARE-HK, Ali 2022, Esteban-Fernández 2022 wykazano, że leczenie patiromerem umożliwia optymalizację terapii RAASi poprzez utrzymanie lub przywrócenie zalecanego schematu leczenia. W badaniu Fucili 2026 patiromer, w porównaniu z cyklokrzemianem sodowo-cyrkonowym i polistyrenosulfonianem, wiązał się z korzystniejszymi wynikami dotyczącymi niewydolności serca oraz istotnie większą adherencją do leczenia.

W badaniu CONTINUE-HF nie wykazano istotnych statystycznie różnic między patiromerem a placebo w zakresie jakości życia, samopoczucia ani sprawności funkcjonalnej.

W badaniach pierwotnych nie wykazano istotnych statystycznie różnic wskazujących na różnice w profilach bezpieczeństwa patiromeru i placebo. Jedynie w badaniu PEARL-HF zdarzenia niepożądane, w tym zaburzenia żołądkowo-jelitowe, występowały istotnie częściej w grupie patiromeru niż placebo (odpowiednio 53,6% vs 30,6% oraz 21% vs 6%).

Wytyczne kliniczne

Odnalezione wytyczne kliniczne są zgodne co do konieczności utrzymania leczenia inhibitorami układu RAA/RAASi, jeśli jest to możliwe oraz wskazują na potrzebę wdrożenia działań obniżających stężenie potasu przed redukcją lub odstawieniem tych terapii. Większość aktualnych rekomendacji (ESC 2026, KDIGO 2024, UKKA 2023, EMCREG 2025) wymienia patiromer jako skuteczną opcję leczenia przewlekłej hiperkaliemii, umożliwiającą utrzymanie lub optymalizację leczenia RAASi/MRA u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek i/lub niewydolnością serca. Wytyczne UKKA 2023 dopuszczają patiromer u pacjentów, którzy nie mogą stosować RAASi z powodu hiperkaliemii.

Wśród pozostałych zalecanych metod postępowania w hiperkaliemii wymienia się modyfikację diety, optymalizację leczenia współistniejącego, stosowanie diuretyków, korekcję kwasicy metabolicznej oraz wykorzystanie innych leków

wiążących potas, głównie cyklokrzemianu sodowo-cyrkonowego, przy czym odstawienie RAASi traktowane jest jako rozwiązanie ostateczne.

<u>Problem ekonomiczny</u>

Zaproponowano mechanizm dzielenia ryzyka polegający na

Oszacowany ICUR dla porównania patiromeru ze standardową terapią (SoC) w perspektywie płatnika publicznego wyniósł w populacji z HFrEF oraz 39 553,02 zł/QALY bez RSS. Wartości te znajdują się poniżej progu opłacalności. W populacji pacjentów z PChN, analiza wykazała, że leczenie patiromerem w stosunku do standardowego postępowania.

Oszacowana wartość progowa ceny zbytu netto leku, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości progu, o którym mowa w art. 12 pkt 13 ustawy, w perspektywie płatnika wynosi w populacji z HFrEF: / 7 183,88 zł (bez RSS), a w populacji z PChN: / 9 027,95 zł (bez RSS). W perspektywie wspólnej te wartości są podobne.

Wyniki analizy wpływu na budżet, w wariancie z RSS, dla populacji z PChN, niestosującej RAASi wskazują na dodatkowy koszt , dla populacji HF dodatkowy

Największa niepewność dotyczy liczby pacjentów stosującą lek Veltassę. Kolejna niepewność wynika z ewentualnej przyszłej refundacji leku Lokelma (sodu cyrkonu cyklokrzemian), wskazywanego w wytycznych klinicznych na równi z patiromerem oraz ocenianym w Agencji w maju 2026 roku, która wpłynie na zmianę na rynku leków stosowanych w hiperkaliemii u pacjentów z HF.

Według szacunków wnioskodawcy, objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane z dodatkowymi wydatkami płatnika 9,0 mln zł w 1 roku i 33,2 mln zł w 2 roku (bez RSS) refundacji (z RSS).

Wyniki analizy wpływu na budżet, w wariancie bez RSS, dla populacji z PChN, niestosującej RAASi wskazują na dodatkowy koszt 0,80 mln zł i 2,9 mln zł odpowiednio w 1 i w 2 roku refundacji, dla populacji HF dodatkowy koszt 8,2 mln zł i 30,2 mln zł odpowiednio w 1 i w 2 roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

W odniesieniu do dorosłych pacjentów z hiperkaliemią z niewydolnością serca oraz PChN niestosujących RAASi zidentyfikowano 5 rekomendacji pozytywnych

oraz 1 rekomendację niemiecką, w której nie wykazano dodatkowej korzyści patiromeru. Organizacje wskazywały na możliwość wykorzystania leku do utrzymania lub optymalizacji terapii RAASi, jednocześnie podkreślając brak dowodów na poprawę przeżycia, jakości życia oraz wyników sercowo-naczyniowych i nerkowych, a także brak przewagi nad aktywnymi komparatorami.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę (na dzień 16.06.2026)

<u>Główne argumenty decyzji</u>

- *Wyniki badań z zakresu efektywności praktycznej potwierdziły skuteczność patiromeru w warunkach codziennej praktyki klinicznej we wnioskowanych wskazaniach;*
- *Terapia jest uwzględniana w rekomendacjach klinicznych;*
- *Brak silnych dowodów naukowych na skuteczność we wszystkich wnioskowanych wskazaniach oraz wysoki koszt dla budżetu wymaga pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.*

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 2026 r. poz. 253), 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.4130.3.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Veltassa (patiromer) w kategorii w aptece na receptę, we wskazaniu: leczenie hiperkaliemii u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek, niestosujących inhibitorów układu RA oraz pacjentów z niewydolnością serca z obniżoną frakcją wyrzutową”, data ukończenia: 13 października 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France.*

***Zakres wyłączenia jawności**: dane objęte oświadczeniem (Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France) 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**: Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France.*