



Pfizer Polska Sp. z o.o.
ul. Żwirki i Wigury 16B
02-092 Warszawa (Polska)

07.03.2023 r., Warszawa

49/06/03/2023/MK/H&V

Szanowny Pan
Zbigniew Pawłowski
Prezes Stowarzyszenia
Rodzin z Amyloidozą TTR

Szanowny Panie Prezesie,

W imieniu firmy Pfizer Polska Sp. z o. o, Wnioskodawcy (dalej: „Wnioskodawca” lub „Spółka”) w postępowaniu o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla produktu Vyndaqel, Tafamidis, w ramach programu lekowego „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)” chciałabym bardzo serdecznie podziękować za Pana pytanie oraz zadeklarować, iż Spółka dołożyła wszelkich starań aby zapewnić pacjentom chorym na kardiomiopatię w przebiegu amyloidozy transtyretynowej dostęp do leczenia w ramach programu lekowego.

Jednocześnie chciałabym poinformować, iż mimo to, 20 czerwca Minister Zdrowia **wydał decyzję o odmowie objęcia refundacją dla leku Vyndaqel we wspomnianym wskazaniu**. Jak wiemy wskazanie rejestracyjne dotyczy choroby rzadkiej, gdzie wiedza na temat choroby i skuteczności leku wymaga w naszej opinii szczegółowej analizy. Niestety, ale w trakcie jednego, krótkiego spotkania z Komisją Ekonomiczną oraz Ministrem Zdrowia nie mieliśmy możliwości odnieść się do wątpliwości merytorycznych. Z ubolewaniem przyjmujemy fakt braku merytorycznej dyskusji i możliwości uczestniczenia w dialogu z Ministrem Zdrowia, tak aby wspólnie wypracować rozwiązania pozwalające na udostępnienie tej terapii dla polskich pacjentów.

Firma Pfizer wielokrotnie deklarowała gotowość do dyskusji zarówno na temat kosztów leczenia, kształtu programu, jak i mechanizmów podziału ryzyka, zgodnie z rekomendacjami Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. **Minister Zdrowia nie wyraził jednak zgody na dalsze rozmowy dotyczące refundacji leku Vyndaqel.**

- W odpowiedzi na zaistniałą sytuację, Spółka złożyła **wniosek o ponowne rozpatrzenie sprawy, wraz z prośbą o spotkanie**. W korespondencji firma Pfizer wielokrotnie podkreślała fakt że w chwili obecnej jedynym zarejestrowanym lekiem w Unii Europejskiej o udowodnionej skuteczności w redukcji śmiertelności i pilnych hospitalizacji z powodu zaostrzeń choroby jest tafamidis i że jednocześnie znalazł on swoje miejsce w aktualnych zaleceniach Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego (ESC) w klasie zaleceń I, co oznacza, że jest on jednoznacznie zalecany w grupie pacjentów z amyloidozą transtyretynową serca, jako leczenie przyczynowe poprawiające rokowanie w tej niezwykle szczególnej grupie chorych¹². Podkreślano też było wielokrotnie, że **większość leków stosowanych w niewydolności krążenia może być** szkodliwa dla pacjentów z ATTR-CM z powodu unikalnej patologii amyloidozy. Nacieczenie serca przez włókna amyloidu pociąga za sobą odrębność w odpowiedzi na większość leków stosowanych w niewydolności serca. W szczególności w amyloidzie ATTR leki klasycznie wydłużające życie w niewydolności serca nie mają potwierdzonej skuteczności działania, co więcej mogą być szkodliwe.³⁴⁵

Decyzją z dnia 27 lutego br. po rozpatrzeniu wniosku Pfizer Polska sp. z o.o. z dnia 1 lipca 2022 r. o ponowne rozpatrzenie sprawy zakończonej decyzją nr RN210416237/06/2022 z dnia 10 czerwca 2022 r. o odmowie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku Vyndaqel, Tafamidisum, kapsułki miękkie, 61 mg, 30 kaps. (1 x 30), GTIN: 05415062359426, zwany dalej „lekiem Vyndaqel” w ramach programu lekowego „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”, **utrzymał w mocy zaskarżoną decyzję**.

Płatnik, w treści uzasadnienia twierdzi, iż „[...] brak jest alternatywnej technologii medycznej, rozumianej jako aktywne leczenie. W odnalezionych wytycznych Agencja wskazała, że podstawą leczenia kardiomiopatii w przebiegu ATTR-CM jest leczenie objawowe niewydolności serca. Podstawą leczenia niewydolności serca jest pięć grupy leków: inhibitory konwertazy angiotensyny (ACEI), β -blokery, antagoniści aldosteronu (blokery receptora aldosteronowego), antagoniści receptora mineralokortykoidowego oraz diuretyki, które zaleca się u każdego pacjenta z niewydolnością serca. Coraz częściej w praktyce klinicznej wykorzystuje się również statyny, które są powszechnie stosowane jako uzupełnienie leczenia dietetycznego w celu obniżenia podwyższonego stężenia całkowitego cholesterolu, cholesterolu LDL, apolipoproteiny B i triglicerydów. W przedmiotowym wskazaniu wykorzystuje się ich działanie prewencyjne. Agencja podjęła analizę zebranych danych prowadzonych przez płatnika publicznego (NFZ). Biorąc pod uwagę wszystkich pacjentów, którym kiedykolwiek podczas wykonywania świadczeń postawiono diagnozę kardiomiopatii wraz z amyloidozą. Zidentyfikowano, iż podstawą leczenia jest pięć grup leków: inhibitory konwertazy angiotensyny (ACEI), β -blokery, antagoniści aldosteronu (blokery receptora aldosteronowego), antagoniści receptora mineralokortykoidowego oraz diuretyki, które zaleca się u każdego pacjenta z niewydolnością serca.

¹Małgorzata Lelonek et al. Opinia ekspertów Asocjacji Niewydolności Serca Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego na temat opublikowanych w 2021 roku wytycznych Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego dotyczących diagnostyki i leczenia ostrej oraz przewlekłej niewydolności serca — wytyczne z perspektywy krajowej. *Kardiologia Polska (Polish Heart Journal)* Vol 80, Supp. I (2022): Zeszyty Edukacyjne 1/2022;

²Theresa A McDonagh et al., ESC Scientific Document Group, 2021 ESC Guidelines for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure: Developed by the Task Force for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure of the European Society of Cardiology (ESC) With the special contribution of the Heart Failure Association (HFA) of the ESC, *European Heart Journal*, Volume 42, Issue 36, 21 September 2021, Pages 3599-3726, <https://doi.org/10.1093/eurheartj/ehab368>

³Pollak A, Falk RH. Left ventricular systolic dysfunction precipitated by verapamil in cardiac amyloidosis. *Chest* 1993; 104: 618–620, doi: 10.1378/chest.104.2.618

⁴Rubinow A, Skinner M, Cohen AS. Digoxin sensitivity in amyloid cardiomyopathy. *Circulation* 1981; 63: 1285–1288, doi: 10.1161/01.cir.63.6.1285.

⁵Holcman K, Kostkiewicz M, Podolec P, Rubiś P. Cardiac amyloidosis — state-of-the-art diagnosis and emerging therapies. *Folia Cardiologica* 2019;14:616–624.

Pfizer Polska Sp. z o.o.

ul. Żwirki i Wigury 16B
02-092 Warszawa (Polska)

Powyższe dane wg Agencji stanowią najbardziej wiarygodne i rzetelne źródło informacji o aktualnej praktyce klinicznej”.

W odpowiedzi na zaistniałą sytuację, Spółka planuje ponownie złożyć wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla produktu Vyndaqel, tafamidis, w ramach programu lekowego „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”, umożliwiając tym samym dostęp do leczenia ATTR, tak jak to ma miejsce niemalże we wszystkich krajach UE.

Z wyrazami szacunku

Marta Kowalczyk

Health&Value Manager