



**ASOCJACJA
NIEWYDOLNOŚCI SERCA
POLSKIEGO TOWARZYSTWA
KARDIOLOGICZNEGO**



Do
Szanowny Pan
Maciej Miłkowski
Wiceminister Zdrowia
Ministerstwo Zdrowia
Departament Polityki Lekowej i Farmacji

Szanowny Panie Ministrze,

W związku z toczącym się procesem refundacji Asocjacja Niewydolności Serca PTK zwraca się z prośbą o umożliwienie dostępu do terapii mavacamtenem chorym z kardiomiopatią przerostową z zawężaniem w drodze odpływu w ramach programu lekowego.

Kardiomiopatia przerostowa to jednostka chorobowa występująca z częstością 0,02-0,23% w populacji osób dorosłych. Choroba ujawnia się w każdym wieku, ale zazwyczaj występuje już u ludzi młodych. W 2023 roku w Polsce leczono 1432 osoby z rozpoznaniem kardiomiopatii przerostowej (I42.1).

W wyniku przerostu mięśnia sercowego dochodzi do wystąpienia szeregu objawów jak męczliwość, wysiłkowe bóle stenokardialne, zawroty głowy, omdlenia i rozwój niewydolności serca. Objawy towarzyszące HCM istotnie pogarszają jakość życia. Roczna śmiertelność w tej populacji wynosi ~1% i jest najczęściej wynikiem nagłego zgonu sercowego na skutek wystąpienia komorowych zaburzeń rytmu (nierzadko jest to pierwsza manifestacja HCM).

Do niedawna celem redukcji objawów i gradientu w drodze odpływu lewej komory stosowano beta blokery pozbawione działania naczyniorozszerzającego (metoprolol, propranolol, bisoprolol) w maksymalnej tolerowanej przez pacjenta dawce. W

przypadku ich nieskuteczności Ca-blokery (werapamil, diltiazem). U chorych z HCM z zawężaniem w drodze odpływu lewej komory (gradient w LVOTO >50 mmHG) i brakiem skuteczności farmakoterapii rozważano leczenie interwencyjne (ablację alkoholową lub miektomię) . Najnowsze wytyczne Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego z 2023r zalecają zastosowanie nowego rozwiązania terapeutycznego jakim jest mavacamten (inhibitor ATP-azy miozyny sercowej) w przypadku nieskuteczności dotychczasowej terapii farmakologicznej. Mavacamten w odróżnieniu od wcześniej stosowanych leków działa przyczynowo poprzez redukcję kurczliwości mięśnia sercowego i w konsekwencji obniżenie gradientu w LVOT. Klinicznie manifestuje się to zmniejszeniem objawów niewydolności serca i wzrostem wydolności fizycznej u pacjentów z kardiomiopatią przerostową i zawężaniem w drodze odpływu lewej komory. Badania takie jak EXPLORER- HF oraz VALOR-HCM potwierdzają skuteczność terapii (zmniejszenie gradientu w LVOT po wysiłku oraz redukcję objawów o co najmniej jedną klasę czynnościową wg NYHA). Lek okazał się dobrze tolerowany, bezpieczny oraz zapewnił trwałą odpowiedź kliniczną, hemodynamiczną oraz biochemiczną w postaci redukcji stężeń troponin oraz peptydów natiuretycznych w surowicy krwi.

Zastosowanie mavacamtenu stwarza zatem nową szansę dla chorych z HCM na istotną poprawę jakości życia. Daje to szansę wielu chorym niejednokrotnie młodym ludziom powrót do normalności.

Zarząd Asocjacji Niewydolności Serca

Prof. Agnieszka Pawlak
Przewodnicząca ANS PTK

**AGNIESZKA
PAWLAK**

Elektronicznie podpisany przez
AGNIESZKA PAWLAK
Data: 2024.04.18 12:12:54 +02'00'

Prof. Anna Tomaszuk- Kazberuk
Sekretarz ANS PTK



Prof. Agata Bielecka-Dąbrowa
Skarbnik ANS PTK

Podpis jest prawidłowy

Dokument podpisany przez Agata
Bielecka-Dąbrowa
Data: 2024.04.18 14:15:56 CEST