



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 69/2026 z dnia 25 maja 2026 roku
w sprawie oceny leku Zilbrysq (zilucoplanum) w ramach programu
lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią
miastonii (ICD-10: G.70.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Zilbrysq (zilucoplanum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 16,6 mg, 1 ml, GTIN: 05413787222278,
- Zilbrysq (zilucoplanum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 23 mg, 1 ml, GTIN: 05413787222285,
- Zilbrysq (zilucoplanum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 32,4 mg, 1 ml, GTIN: 05413787222292,

w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G.70.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Miastenia jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, cechującą się występowaniem autoprzeciwciał przeciw białkom złącza nerwowo-mięśniowego - receptorowi acetylocholino (AChR) i receptorowej kinazie tyrozynowej swoistej dla mięśni (MuSK) lub rzadziej białku związanemu z receptorem LDL typu 4 (LRP 4). Miastenia jest chorobą przewlekłą, której objawy odczuwalne są przez całe życie pacjenta. Pogorszenie następuje przy powtarzających się aktywnościach, infekcjach, wyższych temperaturach i stresie. W okresie remisji możliwe jest całkowite ustąpienie objawów.

Zilukoplan jest syntetycznym peptydem makrocyclicznym obejmującym 15 aminokwasów, który hamuje działanie białka C5 układu dopełniacza poprzez podwójny mechanizm działania. Swoicie wiąże się z C5, hamując w ten sposób jego rozszczepienie przez konwertazę C5 na C5a i C5b, powodując obniżenie regulacji łączenia i aktywności cytolitycznej kompleksu atakującego błonę (MAC, ang. Membrane Attack Complex). Ponadto, poprzez wiązanie się z grupą C5b

białka C5, zilukoplan sterycznie utrudnia wiązanie C5b z C6, co zapobiega późniejszemu łączeniu się i aktywności MAC w przypadku powstania składnika C5b.

W leczeniu miastonii stosuje się różne grupy leków i procedur medycznych, w tym inhibitory acetylocholinesterazy, glikokortykosteroidy, niesteroidowe leki immunosupresyjne i immunomodulujące, leki biologiczne, preparaty immunoglobuliny ludzkiej, oraz plazmaferezy. W ramach programu lekowego B.157 refundowane są obecnie leki biologiczne: rytuksymab (RYT), efgartigimod (EFG) oraz rawulizumab (RAW).

Dowody naukowe

Brak jest badań naukowych bezpośrednio porównujących wnioskowaną terapię z wskazanymi komparatorami tj. EFG i RAW. Do przeglądu systematycznego włączono dwa przeglądy systematyczne, wyniki niezakotwiczonej analizy MAIC, oraz dwa badania efektywności praktycznej. Dostępne wyniki wskazują na brak istotnych różnic skuteczności i bezpieczeństwa porównywanych terapii, jednak biorąc pod uwagę brak badań head-to-head brak jest jednoznacznych przesłanek do przyjęcia równorzędności klinicznej między ww. terapiami. Dodatkowo wnioskodawca nie uwzględnił w analizach jako komparatora trzeciego leku biologicznego refundowanego w przedmiotowym wskazaniu tj. RYT.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono sześć zagranicznych konsensusów ekspertów dotyczących leczenia miastonii, w tym uogólnionej miastonii gMG u pacjentów z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholinyl. Wszystkie wytyczne zgodnie wskazują, że leczeniem objawowym pierwszego rzutu w MG są inhibitory acetylocholinesterazy. W przypadku braku wystarczającej kontroli objawów choroby, leczeniem immunosupresyjnym pierwszego wyboru są glikokortykosteroidy. Większość konsensusów dopuszcza możliwość zastosowania rytuksymabu u pacjentów z gMG z przeciwciałami anty-AChR. Rytuksymab może być rozważany już na etapie rozpoczynania leczenia steroidami, u pacjentów z umiarkowanym lub ciężkim przebiegiem choroby w celu ograniczenia ekspozycji na glikokortykosteroidy a także przypadku braku odpowiedzi lub nietolerancji standardowych leków immunosupresyjnych. W przypadku utrzymywania się aktywności choroby pomimo leczenia objawowego i standardowej immunosupresji, u pacjentów z umiarkowaną lub ciężką uogólnioną MG można rozważyć zastosowanie terapii celowanych, stosowanych jako leczenie dodane, obejmujących antagonistów receptora FcRn lub inhibitory dopełniacza C5.

Zilukoplan wymieniany jest jako jeden z inhibitorów dopełniacza C5 przeznaczony do stosowania u dorosłych pacjentów z gMG i przeciwciałami anty-AChR, z utrzymującą się aktywnością choroby mimo leczenia standardowego.

Problem ekonomiczny

Cena terapii zaproponowana przez wnioskodawcę w znaczący sposób obciąża budżet płatnika publicznego, przy wynikach badań nie dających podstaw do uznania istotnej przewagi zaproponowanej terapii nad dostępnymi i refundowanymi obecnie w ramach programu B.157 lekami. Dodatkowo w przedstawionej analizie nie uwzględniono wszystkich leków dostępnych w ramach programu lekowego. Wnioskodawca przedstawił oszacowania kosztów jedynie dla dwóch z trzech terapii aktualnie refundowanych w programie lekowym, pomijając rytuksymab.

Rekomendacje refundacyjne

W dostępnych negatywnych rekomendacjach refundacyjnych (4 przypadki) zwraca się uwagę na brak odpowiednich danych porównawczych, brak danych odnośnie do skutków długoterminowych terapii, oraz bardzo wysoki koszt terapii w relacji do potencjalnych korzyści zdrowotnych. Niemieckie rekomendacje wskazują na brak dowodów naukowych na dodatkową korzyść terapeutyczną wnioskowanej terapii w stosunku do leczenia standardowego.

Główne argumenty decyzji

- *Brak przekonujących dowodów naukowych na równorzędność wnioskowanej terapii z komparatorami.*
- *Nieuwzględnienie w analizach rytuksymabu jako komparatora.*
- *Ograniczona wiarygodność przedstawionego oszacowania kosztów, które nie uwzględnia wszystkich leków dostępnych w ramach programu lekowego.*
- *Wysoka cena terapii.*

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: DOWM.4131.3.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Zilbrysq (zilucoplan) w ramach programu lekowego B.157 »Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastenii (ICD-10: G70.0)«”, data ukończenia 13.05.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. *Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.*