



Rekomendacja nr 103/2026

z dnia 22 lipca 2026 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Imaavy (nipokalimab)
w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną
postacią miastennii (ICD-10: G70.0)”**

Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Imaavy (nipokalimab) w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastennii (ICD-10: G70.0)”.

Uzasadnienie

Oceniany wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Imaavy (nipokalimab, NIP) w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastennii (ICD-10: G70.0)”, w leczeniu uogólnionej miastennii u pacjentów dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszych, ze stwierdzoną obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR) lub przeciwko specyficznej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK). Kryteria kwalifikacji do programu obejmują pacjentów, u których występują objawy choroby pomimo leczenia miastennii, w tym w historii interwencji farmakologicznych odnotowano niewystarczającą skuteczność (lub zdefiniowane w ChPL nietolerancję lub przeciwwskazania) leczenia immunosupresyjnego kortykosteroidami doustnymi oraz dwoma lekami z klasy niesteroidowych leków immunosupresyjnych. Ponadto w przypadku pacjentów MuSK+ odnotowano nieskuteczność stosowania rytuksymabu bądź przeciwwskazania do terapii rytuksymabem zgodne z aktualną ChPL.

Technologiami alternatywnymi dla ocenianej interwencji w populacji pacjentów dorosłych z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciwko AChR są finansowane w ramach programu lekowego B.157 efgartigimod alfa (EFG) i rawulizumab (RAW). W populacji pediatrycznej od 12 r.ż. oraz w populacji dorosłych pacjentów MuSK+, u których rytuksymab okazał się nieskuteczny (lub wystąpiły istotne działania niepożądane RTX lub przeciwwskazania do jego stosowania), komparatorem jest terapia standardowa (SoC) obejmująca m.in. inhibitory acetylocholinesterazy, glikokortykosteroidy (GKS), leki immunosupresyjne.

Zdaniem Agencji zgodnie z wytycznymi klinicznymi i stanowiskami ekspertów dodatkowo zasadne jest uwzględnienie rytuksymabu (RTX) jako komparatora w populacji dorosłych AChR+. Ponadto od 1 lipca 2026 r. w programie B.157 refundowany jest rozanoliksyzumab (ROZ) stanowiący komparator w populacji pacjentów dorosłych AChR+ i MuSK+.

Analiza skuteczności i bezpieczeństwa w przypadku pacjentów dorosłych opiera się głównie na badaniu RCT Vivacity-MG3 porównującym NIP+SoC z SoC+PLC i na porównaniach pośrednich przeprowadzonych względem pozostałych komparatorów (pochodzących z przeglądu systematycznego Jacob 2026 i [redacted]). W przypadku populacji pediatrycznej dostępne są jedynie wyniki otwartego jednoramienne badanie Vibrance-mg opublikowane w postaci doniesień konferencyjnych i przedstawione w dokumencie EMA 2025. Nie odnaleziono badań skuteczności praktycznej (RWE).

Wyniki porównania pośredniego NIP+SoC vs EFG+SoC pochodzące z przeglądu systematycznego Jacob 2026 wskazują na istotne statystycznie i klinicznie różnice na korzyść NIP+SoC w zakresie średniej redukcji wyniku w skali MG-ADL względem wartości wyjściowej. Należy jednak zwrócić uwagę, że w [redacted]

[redacted] Wyniki porównania pośredniego NIP+SoC vs ROZ+SoC [redacted]

[redacted]. W porównaniach pośrednich NIP+SoC vs RAW+SoC vs NIP+SoC vs RTX+SoC

Dla populacji pediatrycznej dostępne są jedynie wyniki jednoramiennego badania Vibrance-mg, w którym w 4. tygodniu zaobserwowano klinicznie istotną redukcję wyniku MG-ADL i QMG względem wartości początkowych, utrzymującą się do 24. tygodnia obserwacji.

Wytyczne kliniczne wskazują, że przypadku utrzymywania się aktywności choroby pomimo leczenia standardowego, u pacjentów z umiarkowaną lub ciężką uogólnioną MG można rozważyć zastosowanie terapii celowanych obejmujących antagonistów receptora FcRn lub inhibitory dopełniacza C5 stosowanych jako leczenie dodane (add-on). Wytyczne wskazują na brak badań bezpośrednio porównujących poszczególne terapie antagonistami receptora FcRn (do których należy min. nipokalimab), jak również brak danych porównujących je z innymi terapiami celowanymi.

Odnalezione rekomendacje refundacyjne zwracają uwagę na niepewność wartości klinicznej nipokalimabu, ograniczoną dostępność danych dla wybranych grup pacjentów (w tym populacji pediatrycznej) oraz braku wiarygodnych porównań z dostępnymi komparatorami.

Wyniki analizy ekonomicznej wskazują, że wnioskowana technologia jest nieopłacalna kosztowo. Wyniki analizy wpływu na budżet,

wskazują na wydatków płatnika publicznego o ok. w I roku refundacji oraz ok. w II roku refundacji w wariantcie uwzględniającym RSS. Biorąc pod uwagę niepewność oszacowań dotyczących populacji i koszt terapii jednego pacjenta,

Uwzględniając wyniki przeprowadzonych analiz, ich niepewności (w tym ograniczenia dowodów dotyczących skuteczności), rekomendacje refundacyjne mówiące o braku dodatkowej korzyści, brak efektywności kosztowej oraz obciążenie budżetu płatnika publicznego przy niepewnościach dotyczących wielkości populacji docelowej, a także negatywne stanowisko Rady Przejrzystości, Prezes Agencji nie rekomenduje finansowania produktu leczniczego Imaavy.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktów leczniczych:

- Imaavy (nipokalimab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 185 mg/ml, 1 fiol. 1,62 ml, kod GTIN: 05413868126808, proponowana cena zbytu netto: ;
- Imaavy (nipokalimab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 185 mg/ml, 1 fiol. 6,5 ml, kod GTIN: 05413868126792, proponowana cena zbytu netto: ;

wydawanych bezpłatnie w programie lekowym B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)”, w ramach nowej grupy limitowej.

Problem zdrowotny

Miastenia (MG, ang. myasthenia gravis) (ICD-10: G70.0), jest przewlekłą, chorobą nerwowo-mięśniową charakteryzująca się zmiennym, zmęczeniuowym osłabieniem mięśni i znaczną męczliwością z powodu patogenicznego zaburzenia przekazywania cholinergicznego w złączu nerwowo-mięśniowym, wywołanym przez IgG. U około 95% chorych na MG stwierdza się obecność patogennych autoprzeciwciał klasy IgG skierowanych przeciw białkom złącza nerwowomięśniowego, tj. AChR – 85% chorych, MuSK – ok. 8% chorych, LRP4 – ok. 1-2% chorych. Od 50% do 92% chorych pediatrycznych ma dodatni wynik na obecność przeciwciał anty-AChR.

Rozpoznanie kliniczne miastonii opiera się na badaniu klinicznym, badaniach serologicznych w kierunku przeciwciał, obrazowaniu grasicy i/lub badaniach neurofizjologicznych. Ze względu na zmienny charakter choroby do oceny stanu klinicznego chorych stosuje się 10-punktową skalę oceny miastonii (MGC, ang. Miastenia Gravis Composite).

Miastenia objawia się przede wszystkim osłabieniem mięśni nasilającym się podczas wysiłku i w ciągu dnia. Najczęściej pierwsze objawy dotyczą mięśni gałek ocznych (opadanie powiek, podwójne widzenie), a następnie mogą obejmować mięśnie opuszkowe, kończyn oraz oddechowe, prowadząc do zaburzeń mowy, połykania i oddychania. Choroba ma przebieg przewlekły, z okresami zaostrzeń i remisji, i istotnie wpływa na funkcjonowanie pacjentów. Najpoważniejszym powikłaniem jest przełom miasteniczny, czyli nagłe nasilenie objawów z niewydolnością oddechową stanowiące zagrożenie życia. Możliwy jest

także przełom cholinergiczny, powikłania leczenia oraz współistnienie innych chorób autoimmunologicznych.

Miastenia jest chorobą rzadką, występującą na świecie z częstością około 15–25 przypadków na 100 000 osób dorosłych, roczna zapadalność wynosi 0,8–1/100 000. U dzieci i młodzieży choroba występuje rzadziej (0,1–0,5/100 000 rocznie), a 10–15% nowych przypadków dotyczy populacji poniżej 18. roku życia. W 2019 r. częstość występowania MG w Polsce wynosiła 2,36/100 000. Około 15–20% chorych uznaje się za opornych na leczenie.

Według danych CeZ w latach 2021–2025 w Polsce liczba dorosłych pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: G70.0 (miastenia) wynosiła od 3 423 do 5 796 pacjentów, natomiast populacja młodzieży w przedziale wiekowym ≥ 12 <18 lat wyniosła od 38 w 2021 r. do 48 w 2025 r.

Alternatywna technologia medyczna

Wnioskodawca jako komparatory dla ocenianej interwencji wskazał:

- finansowane w ramach programu lekowego B.157 efgartigimod alfa (EFG) i rawulizumab (RAW) – komparatory dla nipokalimabu w populacji dorosłych z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciwko AChR,
- terapię standardową (SOC) obejmującą m.in. inhibitory acetylocholinesterazy (bromek pirydostygminy), GKS (np. prednizon), leki immunosupresyjne (np. azatiopryna, cyklofosfamid, cyklosporyna, metotreksat, mykofenolan mofetylu) – komparator w populacji młodzieży od 12 r.ż. oraz w populacji dorosłych MuSK+, w przypadku nieskuteczności, wystąpienia istotnych działań niepożądanych lub przeciwwskazań do stosowania rytuksymabu.

Zdaniem Agencji zgodnie z wytycznymi klinicznymi i stanowiskami ekspertów dodatkowo zasadne jest uwzględnienie rytuksymabu (RTX) jako komparatora w populacji dorosłych AChR+. Ponadto od 1 lipca 2026 r. w programie B.157 refundowany jest rozanoliksyzumab stanowiący komparator w populacji dorosłych AChR+ i MuSK+.

Opis wnioskowanego świadczenia

Nipokalimab to ludzkie monoklonalne przeciwciało IgG1, które specyficznie wiąże się z miejscem wiązania fragmentu IgG Fc na receptorze FcRn z wysoką swoistością i wysokim powinowactwem, co skutkuje redukcją krążących IgG, w tym autoprzeciwciał IgG, bez wpływu na inne immunoglobuliny.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) Imaavy jest wskazany do stosowania jako dodatkowy lek do standardowej terapii w leczeniu uogólnionej miastonii (ang. *generalised Myasthenia Gravis*, gMG) u pacjentów dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszych, u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR) lub przeciwko specyficznej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK).

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest węższe od wskazania zarejestrowanego, gdyż dotyczy wyłącznie pacjentów z całkowitym wynikiem w skali dotyczącej czynności życia codziennego w miastonii [MG-ADL, ang. Activities of Daily Living] ≥ 5 , w tym minimum 50% uzyskanych punktów z objawów pozaoocznych, u których występują objawy choroby pomimo leczenia miastonii, w tym w historii interwencji farmakologicznych odnotowano niewystarczającą skuteczność lub zdefiniowane w ChPL nietolerancję lub przeciwwskazania dla następujących schematów:

- leczenie immunosupresyjne kortykosteroidami doustnymi przez co najmniej 6 miesięcy, w tym co najmniej 3 miesiące w dawce dobowej odpowiadającej co najmniej 30 mg prednizonu;
- stosowanie dwóch leków z klasy niesteroidowych leków immunosupresyjnych, w tym jeden przez co najmniej 12 m-cy, drugi co najmniej 6 m-cy;
- u pacjentów z dodatnim wynikiem przeciwciał przeciwko swoistej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK) nieskuteczność stosowania rytuksymabu bądź przeciwwskazania do terapii rytuksymabem zgodne z aktualną ChPL;
- oraz wystąpienie ciężkiego zaostrzenia wymagającego terapii ratunkowej (IVIg lub plazmaferezy) / przełomu miastenicznego w ciągu roku poprzedzającego rozpoczęcie leczenia nipokalimabem (NIP).

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono trzy badania pierwotne dotyczące ocenianej interwencji:

- badanie RCT Vivacity-MG3 (N=196, okres obserwacji 24 tygodnie) bezpośrednio porównujące NIP+SoC z SoC+PLC w populacji dorosłych AChR+ i MuSK+ (Antozzi 2025, EMA 2025, abstrakty

konferencyjne: Farmakidis 2024, Beydoun 2025, Dimachkie 2025, Katzberg 2025, Nowak 2024, Ramchandren 2025, Vicente 2025, Vicente 2025a, Vissing 2025, Vu 2024),

- otwarte jednoramienne badanie Vivacity-MG3 OLE (N=88, okres obserwacji 72 tygodnie) będące fazą przedłużoną badania Vivacity-MG3 (abstrakty konferencyjne: Antozzi 2025, Silvestri 2025, Katzberg 2025),

- jednoramienne badanie Vibrance-mg (N=7, okres obserwacji 24 miesiące), którego celem była ocena farmakodynamiki, farmakokinetyki, skuteczności i bezpieczeństwa stosowania NIP u dzieci z gMG, u których nie uzyskano wystarczającej odpowiedzi klinicznej na trwające, stabilne leczenie standardowe (abstrakt konferencyjny Strober 2025, EMA 2025),

Nie odnaleziono badań skuteczności praktycznej (RWE).

W wyniku przeglądu opracowań wtórnych do analizy włączono siedem przeglądów systematycznych: Jacob 2026, Gilhus 2025, Akhtar 2025, Li 2024, Ma 2024, Zhong 2024, Chen 2023.

Nie odnaleziono badań pierwotnych bezpośrednio porównujących NIP+SoC vs EFG+SoC i NIP+SoC vs RAW+SoC, w związku z czym przedstawiono wyniki porównania pośredniego pochodzące z przeglądu systematycznego z metaanalizą sieciową (NMA) Jacob 2026

Ponadto na podstawie danych udostępnionych przez wnioskodawcę oraz na podstawie przeglądu systematycznego Jacob 2026 dodatkowo przedstawiono wyniki analizy skuteczności NIP+SoC vs ROZ+SoC oraz NIP+SoC vs RTX+SoC.

Skuteczność

Pacjenci dorośli – porównanie pośrednie NIP+SoC vs EFG+SoC (populacja AChR+)

Wyniki analizy MAIC przeprowadzonej w przeglądzie systematycznym Jacob 2026 wskazują na istotną statystycznie (IS) i istotną klinicznie różnicę na korzyść NIP+SoC w porównaniu do EFG+SoC w zakresie średniej redukcji wyniku w skali MG-ADL (ang. *Myasthenia Gravis-Activities of Daily Living scale*) względem wartości wyjściowej od 8. (p<0,001) do 24. tygodnia (p=0,012). Istotną klinicznie różnicę wykazano w tygodniu 8. [MD=-2,36 (95%CI: -3,56; -1,16)], 10. [MD=-2,70 (95%CI: -3,97; -1,43)], 16. [MD=-2,15 (95%CI: -3,31; -0,99)], 18. [MD=-3,28 (95%CI: -4,55; -2,02)], 20. [MD=-4,02 (95%CI: -5,37; -2,66)], 22. [MD=-2,17 (95%CI: -4,13; -0,21)], 24. [MD=-3,08 (95%CI: -5,47; -0,69)]. W porównaniu wykonanym metodą Buchera wykazano IS i istotną klinicznie różnicę na korzyść NIP+SoC w porównaniu do EFG+SoC w zakresie średniej redukcji wyniku w skali MG-ADL względem wartości wyjściowej w 24. tygodniu [MD=-2,89 (95%CI: -5,67; -0,12) p=0,041].

Pacjenci dorośli – porównanie pośrednie NIP+SoC vs RAW+SoC (populacja AChR+)

Pacjenci dorośli – porównanie pośrednie NIP+SoC vs ROZ+SoC (populacja AChR+, MuSK+)

Wyniki analizy MAIC przeprowadzonej w przeglądzie systematycznym Jacob 2026 wskazują na IS różnicę na korzyść NIP+SoC w porównaniu do ROZ+SoC w zakresie średniej redukcji wyniku w skali MG-ADL względem wartości wyjściowej w 1. (p=0,001) oraz 10, 12 i 14. tygodniu obserwacji (p<0,001). Istotną statystycznie różnicę wykazano w 10. [MD=-2,38 (95%CI: -3,57; -1,18)], 12. [MD=-2,72 (95%CI: -3,83; -1,60)] i 14. [MD=-3,64 (95%CI: -4,72; -2,56)] tygodniu obserwacji. W porównaniu metodą Buchera nie wykazano istotnej różnicy w zakresie średniej redukcji wyniku w skali MG-ADL względem wartości wyjściowej do 14. tygodnia obserwacji

Pacjenci dorośli - porównanie pośrednie NIP+SoC vs RTX+SoC (populacja AChR+, MuSK+)

Populacja pediatryczna

W jednoramiennym badaniu Vibrance-mg w 4. tygodniu badania zaobserwowano klinicznie istotną redukcję wyniku MG-ADL i QMG względem wartości początkowych, która utrzymywała się do 24. tygodnia obserwacji.

Analiza bezpieczeństwa.

Pacjenci dorośli

W badaniu badania RCT Vivacity-MG3 dla nie stwierdzono IS różnic dla porównania NIP+SoC z SoC+PLC w zakresie zdarzeń niepożądanych zaistniałych w trakcie leczenia (TEAEs) ogółem, TEAEs związanych z leczeniem, ciężkie TEAEs związane z leczeniem oraz zakażenia ogółem. Nie odnotowano IS różnicy między ramionami badania pod względem częstości występowania reakcji związanych z infuzją, zakażeń oraz zakażeń o ciężkim stopniu nasilenia lub zakażeń wymagających dożylnego podania środków przeciw infekcyjnych lub interwencji chirurgicznej bądź inwazyjnej (Antozzi 2025).

Zdarzenia niepożądane ogółem (AEs), zdarzenia niepożądane związane z leczeniem (TEAEs) oraz ciężkie zdarzenia niepożądane (SAEs), występowały odpowiednio u około 90%, 42% i 29% pacjentów (Katzberg 2025).

Pacjenci pediatryczni

TEAEs ogółem odnotowano u pięciu pacjentów pediatrycznych uczestniczących w badaniu (71,4%), natomiast TEAEs związane z leczeniem wystąpiły u dwóch pacjentów (28,6%) (Strober 2025).

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak badań pierwotnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo stosowania NIP w porównaniu do EFG i RAW, brak badań przeprowadzonych w specyficznym zdefiniowanej populacji chorych spełniających kryteria włączenia do programu lekowego oraz nieuwzględnienie RTX jako komparatora. Nie odnaleziono badań RWE. Ocena skuteczności i bezpieczeństwa NIP względem komparatorów opiera się na wynikach porównań pośrednich.

Wyniki w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa NIP w populacji pediatrycznej opierają się na jednym badaniu jednoramiennym, tj. Vibrance-mg, które jest nadal w trakcie realizacji, a dostępne wyniki nie zostały opublikowane w publikacjach pełnotekstowych i dotyczą niewielkiej liczby chorych (N=7).

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Proponowane instrumenty dzielenia ryzyka

Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka (RSS) polegający

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Wnioskodawca przeprowadził analizę kosztów-użyteczności (CUA) i analizę kosztów-konsekwencji (CCA) – dla porównań NIP+SoC vs EFG+SoC i NIP+SoC vs RAW+SoC, NIP+SoC vs SoC w dożywotnim horyzoncie czasowym (47,5-letnim);

Analizy przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej (NFZ+pacjent).

Analiza kosztów-użyteczności (CUA)

NIP+SoC vs EFG+SoC

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie NIP+SoC w porównaniu do EFG+SoC z perspektywy NFZ w wariancie z RSS jest . W wariancie bez RSS

oszacowany ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności i wynosi z perspektywy NFZ 72,8 mln PLN/QALY.

Cena progowa produktu leczniczego Imaavy wynosi [redacted] za opakowanie 300 mg i [redacted] za opakowanie 1200 mg.

NIP+SoC vs RAW+SoC

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie NIP+SoC w porównaniu do RAW+SoC jest [redacted]. Oszacowany ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności i wynosi z perspektywy NFZ ok. [redacted] w wariancie z RSS oraz ok. 56,2 mln PLN/QALY w wariancie bez RSS.

Cena progowa produktu leczniczego Imaavy wynosi [redacted] za opakowanie 300 mg i [redacted] za opakowanie 1200 mg.

NIP+SoC vs SoC

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie NIP+SoC w porównaniu do SoC jest [redacted]. Oszacowany ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności i wynosi z perspektywy NFZ ok. [redacted] w wariancie z RSS oraz ok. 12,1 mln PLN/QALY w wariancie bez RSS.

Cena progowa produktu leczniczego Imaavy wynosi [redacted] za opakowanie 300 mg i [redacted] za opakowanie 1200 mg.

Dla wszystkich porównań wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy NFZ.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest nieuwzględnienie rytuksymabu jako komparatora w populacji dorosłych AChR+ oraz brak możliwości zweryfikowania uwzględnionych przez wnioskodawcę wartości użyteczności. Dodatkowo wnioskodawca nie przedstawił wyników analizy ekonomicznej z podziałem na populację pediatryczną i dorosłych.

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Obliczenia własne Agencji

Zgodnie z oszacowaniem analityków Agencji, [redacted]

[redacted] ICUR z perspektywy NFZ wynosi [redacted]

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253)

W związku z brakiem odnalezienia randomizowanych badań klinicznych wykazujących wyższą skuteczność technologii wnioskowanej od technologii dotychczas refundowanych w danym wskazaniu w populacji pacjentów dorosłych, zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

Według oszacowań wnioskodawcy wartość ceny zbytu netto produktu leczniczego Imaavy, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania wynosi: [redacted] za opakowanie opak. 300 mg, [redacted] za opak. 1200 mg.

Należy zwrócić uwagę, że wyżej wymienioną CZN błędnie oszacowano jako cenę, przy której współczynnik kosztów-użyteczności (CUR) dla ocenianej technologii nie przekracza wartości CUR dla technologii dotychczas refundowanej o najkorzystniejszej efektywności kosztowej, tymczasem oszacowanie powinno uwzględniać wyłącznie koszty leku, jego podania oraz diagnostyki i monitorowania.

Według obliczeń Agencji wartość ceny zbytu netto produktu leczniczego Imaavy, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania, po skorygowaniu obliczeń wnioskodawcy i [redacted], wynosi: [redacted]

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w 2-letnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego.

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [REDAKTOWANO] pacjentów w I roku oraz [REDAKTOWANO] w II roku refundacji.

Wyniki analizy wskazują, że objęcie refundacją leku Imaavy spowoduje z perspektywy NFZ:

- w wariantcie z uwzględnieniem RSS – [REDAKTOWANO] wydatków płatnika publicznego o:
 - [REDAKTOWANO] w I roku refundacji,
 - [REDAKTOWANO] w II roku refundacji;
- w wariantcie bez RSS – wzrost wydatków płatnika publicznego o:
 - ok. 7,39 mln PLN (min. 5,57 mln PLN; maks. 9,08 mln PLN) w I roku refundacji,
 - ok. 24,51 mln PLN (min. 18,49 mln PLN; maks. 30,11 mln PLN) w II roku refundacji.

Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy NFZ.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność dotycząca oszacowań liczebności populacji docelowej – eksperci ankietowani przez Agencję oszacowali populację na znacznie wyższą, niewyodrębnienie populacji pediatrycznej, a także nieuwzględnienie wśród komparatorów rytuksymabu.

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Obliczenia własne Agencji

Zgodnie z oszacowaniem analityków Agencji, [REDAKTOWANO]

[REDAKTOWANO] wydanie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Imaavy we wnioskowanym wskazaniu, spowoduje [REDAKTOWANO] z perspektywy NFZ

[REDAKTOWANO] w wariantcie z RSS [REDAKTOWANO]
[REDAKTOWANO] w wariantcie bez RSS, odpowiednio w I i II roku refundacji.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Ze względu na zidentyfikowane niepewności i ograniczenia analiz oraz ich wyniki, jak również szacowane obciążenie budżetu płatnika, zaproponowane warunki RSS uznano za niewystarczające.

Uwagi do programu lekowego

Ekspersi ankietowani przez Agencję zgłosili uwagi do zapisów uzgodnionego projektu programu lekowego m.in. w zakresie kryteriów kwalifikacji w odniesieniu do pacjentów pediatrycznych. Według jednego z ekspertów w populacji pediatrycznej, szczególnie zagrożonej działaniami niepożądanymi kortykosteroidów w wysokich dawkach, uzasadnione medycznie jest pominięcie konieczności stosowania kolejnych dwóch leków immunosupresyjnych przez łącznie 12+6 miesięcy w razie niepowodzenia standardowej terapii. Ponadto drugi z ekspertów wskazał na zasadność wydłużenia interwału oceny pacjenta do 6 miesięcy w przypadku monitorowania leczenia i programu.

Ponadto zdaniem analityków Agencji należy także zwrócić uwagę, że zgodnie z kryteriami kwalifikacji dla subpopulacji pacjentów z MuSK+ do leczenia NIP będą włączani pacjenci z nieskutecznością stosowania rytuksymabu lub z przeciwwskazaniami do terapii rytuksymabem. Zgodnie z danymi przekazanymi przez NFZ, pochodzącymi z systemu monitorowania programów lekowych (SMPT), od początku dostępności programu B.157 żaden pacjent z obecnością przeciwciał anti-MuSK leczony rytuksymabem nie zakończył leczenia z przyczyną nieskuteczności terapii.

Szczegółowe uwagi do programu lekowego przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono siedem zagranicznych konsensusów ekspertów dotyczących leczenia miastonii, w tym uogólnionej miastonii gMG (Fionda 2026, PNS 2026, ABN 2025, HNS 2025, AWMF 2024, De Bleecker 2024, Gilhus 2024). W związku z brakiem aktualnych polskich zaleceń, do przeglądu włączono również

rozdział zawierający wytyczne terapeutyczne w miastennii pochodzący z Raportu Miastennia z 2023 r. Większość odnalezionych konsensusów ekspertów (5 z 7) została opublikowana przed datą dopuszczenia do obrotu produktu leczniczego Imaavy na terenie Unii Europejskiej.

Zgodnie z wytycznymi w przypadku utrzymywania się aktywności choroby pomimo leczenia standardowego, u pacjentów z umiarkowaną lub ciężką uogólnioną MG można rozważyć zastosowanie terapii celowanych obejmujących antagonistów receptora FcRn lub inhibitory dopełniacza C5 stosowanych jako leczenie dodane (add-on) (Fionda 2026, PNS 2026, AWMF 2024, ABN 2025, HNS 2025, Gilhus 2024, De Bleecker 2024) przy czym inhibitory C5 są wskazane wyłącznie u pacjentów z obecnością przeciwciał anty-AChR (Fionda 2026, PNS 2026, ABN 2025).

W przypadku antagonistów receptora FcRn nipokalimab wymieniany jest jako jeden z leków ocenianych w badaniach klinicznych w porównaniu ze standardowym leczeniem u pacjentów z przeciwciałami anty-AChR, jak i anty-MuSK (Fionda 2026, ABN 2025, Gilhus 2024). Brakuje jednak badań bezpośrednio porównujących poszczególne terapie antagonistów receptora FcRn, jak również danych porównujących je z innymi terapiami celowanymi (ABN 2025).

W odniesieniu do populacji pediatrycznej, wytyczne wskazują, że podstawowe zasady leczenia MG są zbieżne z postępowaniem stosowanym u dorosłych, przy czym wymagają dostosowania dawkowania do masy ciała oraz szczególnej ostrożności w zakresie długotrwałej immunosupresji (Raport Miastennia 2023, AWMF 2024, Gilhus 2024).

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano dwie rekomendacje refundacyjne: kanadyjską CDA-AMC 2026 i niemiecką G-BA 2026. Odnaleziono również informacje o trwającej ocenie przez brytyjskie NICE.

W negatywnej rekomendacji (CDA-AMC 2026) zwraca się głównie uwagę na niepewność wartości klinicznej nipokalimabu, wynikającą z niskiego poziomu dowodów naukowych, braku poprawy o istotnym znaczeniu klinicznym oraz braku wiarygodnych porównań z dostępnymi komparatorami. Podkreślono również ograniczoną dostępność danych dla wybranych grup pacjentów (młodzież, pacjenci z przeciwciałami anty-MuSK) oraz fakt, że lek nie odpowiada w wystarczającym stopniu na niezaspokojone potrzeby zdrowotne pacjentów z gMG ani nie rozwiązuje problemów związanych z dostępem do leczenia. G-BA zwraca uwagę przede wszystkim na brak odpowiednich danych porównawczych, w szczególności brak RCT względem właściwych komparatorów. Podkreślono również istotne braki metodologiczne i danych (w tym bardzo ograniczone dane dla młodzieży oraz brak możliwości wiarygodnego przeniesienia wyników z populacji dorosłych), w związku z czym uznano, że dodatkowa korzyść kliniczna leku nie została wykazana.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę (stan na 19.05.2026 r.) produkt leczniczy Imaavy jest refundowany w trzech krajach UE i EFTA na 30 wskazanych.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 20.03.2026 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.2745.2025.11.JWI, PLR.4500.241.2026.10.JWI), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Imaavy (nipokalimab) w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastennii (ICD-10: G70.0)”, na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 97/2026.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 97/2026 z dnia 20 lipca 2026 roku w sprawie oceny leku Imaavy (nipokalimab) ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastennii (ICD-10: G70.0)”
2. Wniosek o objęcie refundacją leku Imaavy (nipokalimab) w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastennii (ICD-10: G70.0)”. Analiza weryfikacyjna DOWM.4131.6.2026. Data ukończenia: 9 lipca 2026 r.