



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 97/2026 z dnia 20 lipca 2026 roku
w sprawie oceny leku u Imaavy (nipokalimab) w ramach programu
lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii
(ICD-10: G70.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

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

w ramach programu lekowego „B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Miastenia (MG, ang. myasthenia gravis) (ICD-10 G70.0) jest przewlekłą, chorobą nerwowo-mięśniową charakteryzująca się zmęczeniowym osłabieniem mięśni z powodu patogenicznego zaburzenia przekąźnictwa cholinergicznego. 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.

W 2019 r. częstość występowania MG w Polsce wynosiła 2,36/100 000. Według danych CeZ w latach 2021-2025 liczba dorosłych pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: G70.0 (miastenia) mieściła się w zakresie od 3 423 do 5 796 pacjentów, natomiast populacja młodzieży w przedziale wiekowym $\geq 12 < 18$ lat wyniosła 48 osób w 2025 r. W opinii ekspertów obecna liczba chorych dorosłych z gMG wynosi ok. 9 500-12 000, natomiast liczba chorych powyżej 12 r.ż. wynosi ok. 3-9% populacji MG. W 2025 r. liczba pacjentów objętych programem lekowym B.157 wyniosła łącznie 160 osób.

Nipokalimab to ludzkie monoklonalne przeciwciało IgG1, które specyficznie wiąże się z miejscem wiązania fragmentu IgG Fc, co skutkuje redukcją krążących IgG. Data wydania pierwszego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu Imaavy to 28 listopada 2025 r. Nipokalimab stosowany jest w terapii dodanej do standardowej terapii w leczeniu uogólnionej miastonii (gMG) u dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszych, u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR, ang. acetylcholine receptor) lub przeciwko specyficznej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK, ang. muscle, skeletal, receptor tyrosine kinase). Wnioskowane wskazanie jest zgodne z zapisami ChPL Imaavy. Populacja docelowa jest dodatkowo zawężona względem wskazania rejestracyjnego zapisami wnioskowanego programu lekowego.

Dowody naukowe

Jako komparatory dla nipokalimabu u dorosłych pacjentów z przeciwciałami anty-AChR należy przyjąć efgartigimod alfa (EFG), rawulizumab (RAW) oraz rytuksymab (RTX). Terapia standardowa (SoC, ang. standard of care) została wskazana jako komparator w populacji młodzieży od 12 r.ż., dorosłych z dodatnim wynikiem na obecność przeciwciał anty-MuSK lub w przypadku nieskuteczności, wystąpienia istotnych działań niepożądanych lub przeciwwskazań do stosowania rytuksymabu. Od 1 lipca 2026 r. w programie lekowym B.157 w populacji dorosłych z dodatnim wynikiem na obecność przeciwciał anty-MuSK, refundowany jest produkt leczniczy Rystiggo (ROZ - rozanoliksyzumab), w związku z powyższym SoC nie jest właściwym komparatorem u pacjentów dorosłych z MuSK+. Wybór SoC jako komparatora uznano za zasadny w populacji młodzieży od 12 r.ż.

Skuteczność kliniczną NIP względem RAW i EFG oceniono na podstawie porównań pośrednich przedstawionych w publikacji Jacob 2026 i udostępnionych przez wnioskodawcę (dane nieopublikowane). W populacji AChR+ wyniki analizy MAIC wskazują na IS i istotną klinicznie różnicę na korzyść NIP w porównaniu do EFG w zakresie średniej redukcji wyniku w skali MG-ADL względem wartości wyjściowej od 8. ($p < 0,001$) do 24. tygodnia ($p = 0,012$) terapii.

Skuteczność NIP vs. ROZ oraz NIP vs. RTX oceniono na podstawie przeglądów systematycznych włączonych do AKL wnioskodawcy oraz danych udostępnionych przez wnioskodawcę. W populacji AChR+ Musk+ wykazano IS różnicę na korzyść NIP w porównaniu do ROZ w zakresie średniej redukcji wyniku w skali MG-ADL względem wartości wyjściowej w 1. ($p = 0,001$) oraz 10, 12 i 14. tygodniu obserwacji ($p < 0,001$) – analiza MAIC, opracowania wtórne.

Wyniki badania jednoramiennego Vibrance-mg wykazały w populacji pediatrycznej klinicznie istotną redukcję wyniku MG-ADL i QMG względem wartości początkowych w 4. tygodniu badania utrzymującą się do 24. tygodnia obserwacji.

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak badań pierwotnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo stosowania NIP w porównaniu do EFG i RAW, brak badań przeprowadzonych w specyficznie zdefiniowanej populacji chorych spełniających kryteria włączenia do programu lekowego oraz nieuwzględnienie RTX jako komparatora. Nie odnaleziono opublikowanych badań rzeczywistej praktyki klinicznej. Ocena skuteczności i bezpieczeństwa NIP względem analizowanych 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), przy czym wśród tych 7 chorych nie było chorych rasy białej oraz MuSK+.

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). Wyniki bezpieczeństwa (Vivacity-MG3) wskazują, że nie stwierdzono IS różnic między ramionami badania pod względem częstości występowania zdarzeń niepożądanych podczas leczenia NIP i komparatorami. W badaniu jednoramiennym Vibrance-mg TEAEs ogółem odnotowano u pięciu pacjentów pediatrycznych uczestniczących w badaniu (71,4%), natomiast TEAEs związane z leczeniem wystąpiły u dwóch pacjentów (28,6%). Wnioskodawca nie przedstawił wyników ogólnych zgłoszeń działań niepożądanych leku dla wyszukiwania w bazach EudraVigilance, VigiAccess oraz FAERS.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono siedem zagranicznych konsensusów ekspertów dotyczących leczenia miastonii (Fionda 2026, PNS 2026, ABN 2025, HNS 2025, AWMF 2024, De Bleecker 2024, Gilhus 2024). Większość odnalezionych konsensusów ekspertów (5 z 7) została opublikowana przed datą dopuszczenia do obrotu produktu leczniczego Imaavy na terenie Unii Europejskiej. Antagoniści receptora FcRn (aFcRn) powinny być stosowane przede wszystkim w sytuacjach klinicznych wymagających wysokiej skuteczności terapii oraz szybkiej poprawy stanu klinicznego. 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).

Problem ekonomiczny

Zaproponowano mechanizm dzielenia ryzyka,

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy NIP+SoC natomiast w wariancie bez RSS oszacowany ICUR z perspektywy NFZ wyniósł ok 72,8 mln PLN/QALY.

Stosowanie NIP+SoC w miejsce RAW+SoC jest efektami zdrowotnymi. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ w wariancie z RSS wyniósł ok. PLN/QALY oraz 56,2 mln PLN/QALY w wariancie bez RSS.

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, pomimo zwrócenia uwagi na tę kwestię w piśmie dotyczącym wymagań minimalnych.

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano jedną negatywną rekomendację (CDA-AMC 2026) oraz rekomendację G-BA mówiącą o braku dodatkowej korzyści klinicznej nipokalimabu względem właściwych terapii porównawczych w żadnej z analizowanych populacji (G-BA 2026). Odnaleziono również informacje o trwającej ocenie NICE. Lek Imaavy (stan na 19.05.2026 r.) jest refundowany w trzech krajach UE (Niemcy, Luksemburg, Szwajcaria).

Główne argumenty decyzji

- *niski poziom dowodów naukowych i niepewność wartości klinicznej,*
- *ograniczona dostępność danych dla wybranych grup pacjentów (młodzież, pacjenci z przeciwciałami anty-MuSK),*
- *brak wiarygodnych porównań z dostępnymi komparatorami,*
- *wysokie koszty terapii,*
- *brak pozytywnych rekomendacji refundacyjnych innych agencji.*

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: DOWM.4131.6.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku lmaavy (nipokalimab) w ramach programu lekowego B.157 »Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)«”, data ukończenia: 09.07.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. 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: Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Medison Pharma Sp. z o.o., Alexion Europe SAS).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Medison Pharma Sp. z o.o., Alexion Europe SAS 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 2022 r., 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) i , 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: Medison Pharma Sp. z o.o., Alexion Europe SAS.

Dane zakreślone **kolorem szarym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Medison Pharma Sp. z o.o., Alexion Europe SAS).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Medison Pharma Sp. z o.o., Alexion Europe SAS 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 2022 r., 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) i , 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: *Medison Pharma Sp. z o.o., Alexion Europe SAS.*