



Rekomendacja nr 135/2026

z dnia 11 września 2026 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Ultomiris (rawulizumab)
w ramach programu lekowego:
B.138.FM „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych
i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”**

Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Ultomiris (rawulizumab) w ramach programu lekowego: B.138.FM „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”.

Uzasadnienie

Ocena dotyczy zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Ultomiris (rawulizumab) w ramach programu lekowego: B.138.FM, w leczeniu dorosłych pacjentów z chorobą ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD), z obecnością przeciwciał przeciwko akwaporynie 4, w przypadku niepowodzenia leczenia satralizumabem (SAT) lub braku możliwości jego zastosowania.

Aktualnie w analizowanym wskazaniu stosuje się standardowe leczenie immunosupresyjne (IST) (obejmujące glikokortykosteroidy, mykofenolan mofetylu, azatioprynę), a także immunoglobuliny oraz finansowany w ramach RDTL rytuksymab.

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi, we wnioskowanym wskazaniu zaleca się zastosowanie długoterminowej immunoterapii, w szczególności przeciwciał monoklonalnych. W przypadku nieskuteczności leczenia jednym przeciwciałem monoklonalnym rekomenduje się zmianę terapii na inne przeciwciało monoklonalne, preferencyjnie o odmiennym mechanizmie działania.

Ocenę skuteczności i bezpieczeństwa rawulizumabu (RAW) oparto głównie na wynikach badania CHAMPION-NMOSD oraz niewielkiego badania obserwacyjnego Sato 2025. W badaniu CHAMPION-NMOSD wykazano przewagę RAW nad placebo w zakresie ryzyka wystąpienia rzutu choroby. U żadnego pacjenta leczonego RAW nie odnotowano potwierdzonego rzutu, podczas gdy w zewnętrznej kohorcie placebo rzuty wystąpiły u 42,6% chorych. Wykazano również istotne statystycznie (IS) różnice na korzyść RAW w zakresie rocznej częstości rzutów (ARR), w tym ARR wymagających hospitalizacji, oraz sprawności chodu ocenianej w skali HAI. Nie stwierdzono natomiast IS różnic w zakresie progresji niepełnosprawności mierzonej skalą EDSS ani jakości życia. W badaniu Sato 2025 po leczeniu RAW większość pacjentów pozostawała wolna od rzutów, przy jednoczesnej redukcji dawki glikokortykosteroidów oraz stabilizacji lub poprawie stanu klinicznego.

Rawulizumab w badaniach wykazywał akceptowalny profil bezpieczeństwa. Większość pacjentów doświadczyła zdarzeń niepożądanych, głównie o nasileniu umiarkowanym i łagodnym.

Wyniki analizy klinicznej należy jednak interpretować z ostrożnością ze względu na nieuwzględnienie wszystkich istotnych komparatorów, brak badań przeprowadzonych w populacji w pełni odpowiadającej kryteriom proponowanego programu lekowego oraz znacznie ograniczoną jakość dostępnych dowodów klinicznych, zwłaszcza dla pacjentów po niepowodzeniu terapii SAT.

W ocenie ekonomicznej wykazano, że w ocenianym wskazaniu Ultomiris jest technologią [] i wiąże się z większymi efektami zdrowotnymi względem IST. Oszacowane wartości ICUR znajdują się powyżej progu opłacalności.

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy wskazują na znaczny wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. [] w I roku refundacji i [] w II roku refundacji w wariantcie z RSS.

Uwzględniając wyniki przeprowadzonych analiz, w szczególności bardzo ograniczone dowody dotyczące skuteczności terapii w ocenianej populacji pacjentów z NMOSD, brak efektywności kosztowej oraz przewidywany wysoki wpływ na budżet płatnika publicznego, a także przychyłając się do negatywnego stanowiska Rady Przejrzystości, Prezes Agencji uznaje finansowanie produktu leczniczego Ultomiris (rawulizumab) we wnioskowanym wskazaniu za niezasadne.

Przedmiot wniosku

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

- Ultomiris (ravulizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 1100 mg, 1 fiol. 11 ml, GTIN: 05391527740162, proponowana cena zbytu netto: [REDACTED];
- Ultomiris (ravulizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg, 1 fiol. 3 ml, GTIN: 05391527740179, proponowana cena zbytu netto: [REDACTED];

wydawanych bezpłatnie w programie lekowym B.138.FM „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)” w ramach istniejącej grupy limitowej, 1285.0, Rawulizumab.

Problem zdrowotny

Choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) są rzadkimi, poważnymi schorzeniami autoimmunologicznymi ośrodkowego układu nerwowego (OUN). U ponad 80% pacjentów wykrywa się przeciwciała przeciwko akwaporynie-4 (AQP4-IgG), które odgrywają istotną rolę w patogenezie choroby. NMOSD najczęściej występuje u kobiet około 40. roku życia. Choroba charakteryzuje się rzutami zapalenia nerwu wzrokowego oraz rdzenia kręgowego, prowadzącymi do postępu trwałej i nieodwracalnej niepełnosprawności. Objawy choroby obejmują m.in. zaburzenia widzenia, porażenia mięśni oraz zaburzenia czynności jelit i pęcherza. U pacjentów z dodatnim wynikiem AQP4-IgG choroba ma zazwyczaj przebieg nawrotowy, obserwowany w około 80-90% przypadków. NMOSD wiąże się również ze zwiększonym ryzykiem zgonu, a po 5 latach od rozpoznania u 60-70% pacjentów występuje ograniczenie widzenia w co najmniej jednym oku. Podstawowym celem leczenia jest zapobieganie nawrotom choroby, ponieważ każdy kolejny rzut przyczynia się do pogłębiania niepełnosprawności oraz pogorszenia jakości życia.

W Polsce liczbę chorych szacuje się na około 200-500 osób, a liczbę nowych zachorowań na około 10-40 przypadków rocznie.

Alternatywna technologia medyczna

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii wskazał standardowe leczenie immunosupresyjne (IST) obejmujące glikokortykosteroidy, mykofenolan mofetylu, azatioprynę.

Wybór uznaje się za zasadny, ale niepełny. W ocenianym wskazaniu, w przypadku nieskuteczności leczenia immunosupresyjnego lub występowania przeciwwskazań do jego zastosowania, dostępne są immunoglobuliny w ramach programu lekowego B.67, a w ramach RDTL finansowany jest rytuksymab.

Opis wnioskowanego świadczenia

Rawulizumab jest przeciwciałem monoklonalnym IgG2/4K, które w sposób swoisty wiąże się z białkiem C5 dopełniacza, hamując w ten sposób jego rozkład na składniki C5a (prozapalna anafilatoksyna) i C5b (podjednostka inicjująca powstanie kompleksu atakującego błonę) i zapobiegając wytwarzaniu C5b-9. Rawulizumab nie wpływa na wcześniejsze etapy aktywacji dopełniacza, które mają zasadnicze znaczenie dla opsonizacji drobnoustrojów i usuwania kompleksów immunologicznych.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL), Ultomiris jest wskazany do stosowania w leczeniu:

- napadowej nocnej hemoglobinurii (PNH, ang. *paroxysmal nocturnal haemoglobinuria*);
- atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego (aHUS, ang. *atypical haemolytic uremic syndrome*);
- uogólnionej miastonii (gMG, ang. *generalised myasthenia gravis*);
- choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD, ang. *neuromyelitis optica spectrum disorder*) u dorosłych pacjentów z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciw akwaporynie 4 (AQP4, ang. *aquaporin-4*).

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest węższe od wskazania zarejestrowanego, obejmuje pacjentów z NMOSD po niepowodzeniu leczenia satralizumabem lub w przypadku braku możliwości jego zastosowania, po spełnieniu dodatkowych kryteriów kwalifikacji do programu lekowego.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono

• 2 badania pierwotne:

- CHAMPION-NMOSD - badanie jednoramienne porównujące RAW±IST z zewnętrzną grupą kontrolną PLC±IST z RCT PREVENT w populacji dorosłych z NMOSD AQP4-IgG+; wskazane przez wnioskodawcę jako reprezentatywne dla populacji docelowej, w której zastosowanie satralizumabu nie jest możliwe;
- Sato 2025 (abstrakt konferencyjny i plakat) - jednoramienne badanie obserwacyjne wskazane przez wnioskodawcę jako reprezentatywne dla populacji docelowej w przypadku niepowodzenia terapii SAT.
- 3 opisy przypadków stosowania RAW u pacjentów wcześniej leczonych SAT (Amano 2025, Jacob 2025, Takahashi 2025).
- opracowania wtórne - w opinii Agencji nie spełniają predefiniowanych przez wnioskodawcę kryteriów włączenia, jednak w związku ze stanowiskiem Agencji o zasadności uwzględnienia rytuksymabu jako komparatora zdecydowano o wyodrębnieniu z nich wyników porównań pośrednich RAW względem rytuksymabu (RTX) (Clardy 2024, Makkawi 2024, John 2025) oraz dodatkowo ze zidentyfikowanej przez analityków analizy sieciowej Barzegar 2026.

Skuteczność

Skuteczność kliniczna: RAW vs. placebo

W badaniu CHAMPION-NMOSD u żadnego z 58 pacjentów leczonych rawulizumabem nie wystąpił potwierdzony rzut choroby, wobec 20 z 47 pacjentów w zewnętrznej grupie kontrolnej (42,6%; [HR=0,014 (95%CI: 0,000; 0,103); $p<0,0001$]). Istotnie statystycznie różnice na korzyść RAW wykazano niezależnie od stosowania dodatkowego leczenia immunosupresyjnego oraz wcześniejszej terapii rytuksymabem.

W badaniu wykazano także istotną statystycznie przewagę RAW±IST względem PLC±IST w zakresie rocznej częstości rzutów choroby (ARR) oraz ARR rzutów wymagających hospitalizacji ($p<0,0001$), a także w zakresie klinicznie istotnego pogorszenia sprawności chodu ocenianego skalą HAI [RR=0,15 (95% CI: 0,03; 0,63); NNT=6] oraz zmiany wyniku HAI względem wartości wyjściowej [MD=-0,60 (95% CI: -1,09; -0,11)].

Nie wykazano natomiast istotnych różnic w zakresie pogorszenia wyniku EDSS ani jakości życia ocenianej za pomocą EQ-5D i EQ VAS (Pittock 2023).

W obserwacji długoterminowej obejmującej 189,7 pacjentolat nie odnotowano żadnego potwierdzonego rzutu u 58 pacjentów leczonych RAW, a u 63% chorych stosujących leczenie immunosupresyjne zmniejszono dawkę lub zakończono stosowanie co najmniej jednego leku immunosupresyjnego (Pittock 2026).

Skuteczność praktyczna RAW (Sato 2025)

10 z 11 pacjentów pozostało wolnych od rzutu w okresie leczenia RAW trwającego ≥ 6 miesięcy, a u jednego chorego rzut wystąpił po 2 miesiącach od zmiany terapii (ARR=0,09). Po 12 miesiącach terapii wykazano istotne statystycznie zmniejszenie średniej dobowej dawki glikokortykosteroidów z 7,15 do 4,15 mg/dobę ($p<0,01$). U żadnego pacjenta nie odnotowano pogorszenia wyniku EDSS; u dwóch chorych wynik uległ poprawie, a u 9 pozostał stabilny. Poprawę nasilenia bólu oraz jakości życia odnotowano u 2 pacjentów.

Badania wtórne RAW vs. RTX

Zgodnie z rankingiem SUCRA, w populacji pacjentów seropozytywnych, RAW osiągnął najwyższe prawdopodobieństwo, że jest interwencją najskuteczniejszą w zakresie wydłużenia czasu do pierwszego rzutu NMOSD [HR=0,00 (95% CI: 0,00; 0,00), SUCRA 0,92], natomiast RTX zajął drugą pozycję w rankingu [HR=0,00 (95% CI: 0,00; 0,02), SUCRA 0,90] (metaanaliza sieciowa John 2025).

W metaanalizie sieciowej Barzegar 2026 nie wykazano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy RAW i RTX w zakresie czasu do pierwszego rzutu choroby zarówno w analizie obejmującej monoterapie [RTX vs. RAW HR=3,33 (95%CI: 0,13; 83,16)], jak i terapii skojarzone [RTX vs. RAW HR=5,00 (95%CI: 0,25; 101,01)]. RAW osiągnął najwyższe prawdopodobieństwo, że jest interwencją najskuteczniejszą w zakresie wydłużenia czasu do pierwszego rzutu NMOSD, a RTX zajął trzecią pozycję w rankingu, zarówno w analizie obejmującej terapii skojarzone (odpowiednio $p=0,927$ i $p=0,618$), jak i w analizie obejmującej monoterapie (odpowiednio $p=0,868$ i $p=0,677$) (Barzegar 2026).

Bezpieczeństwo

W badaniu CHAMPION-NMOSD zdarzenia niepożądane zaistniały w trakcie leczenia wystąpiły u 91,4% pacjentów w fazie podstawowej oraz u 94,8% w fazie podstawowej i przedłużonej (LTE), a zdarzenia uznane za związane z leczeniem RAW odpowiednio u 44,8% i 46,6% pacjentów. Ciężkie zdarzenia niepożądane odnotowano u 15,5% i 27,6% pacjentów.

Najczęściej występujące zdarzenia niepożądane (faza podstawowa/faza podstawowa i LTE) obejmowały: COVID-19 (24,1%/48,3%), ból głowy (24,1%/32,8%) oraz zakażenie dróg moczowych (10,3%/17,2%). U dwóch zaszczepionych pacjentów wystąpiły zakażenia meningokokowe, oba w fazie podstawowej; w fazie LTE nie odnotowano nowych przypadków. Odnotowano jeden zgon, uznany za niezwiązany z leczeniem RAW.

W badaniu Sato 2025 nie zaobserwowano poważnych zdarzeń niepożądanych, a zdarzenia związane z leczeniem RAW stwierdzono u 2 z 11 pacjentów.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami analizy klinicznej są: nieuwzględnienie przez wnioskodawcę rytuksymabu i immunoglobulin jako komparatorów oraz brak badań przeprowadzonych w populacji w pełni zgodnej z wnioskowaną. Badanie CHAMPION-NMOSD miało charakter otwarty, bez randomizacji i równoczesnej grupy kontrolnej, a porównanie przeprowadzono względem zewnętrznej kohorty placebo z innego badania. Dodatkowo część pacjentów w grupie kontrolnej otrzymywała wyłącznie placebo (bez IST), a między porównywanymi grupami występowały różnice w wyjściowej charakterystyce klinicznej. W odniesieniu do populacji po niepowodzeniu terapii SAT dostępne były jedynie dane z małego, nieopublikowanego badania obserwacyjnego Sato 2025, prowadzonego w populacji japońskiej, w którym tylko 4 z 11 pacjentów zmieniło terapię z SAT na RAW z powodu wystąpienia rzutu choroby. Powyższe w bardzo dużym stopniu ogranicza możliwość wnioskowania o efektywności klinicznej ocenianej technologii.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Wnioskodawca zaproponował mechanizm dzielenia ryzyka (RSS, ang. *risk sharing scheme*),

Ocena ekonomiczna, w tym stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Wnioskodawca przeprowadził analizę kosztów-użyteczności (CUA) względem leczenia immunosupresyjnego, tj. azatiopryny, mykofenolanu mofetylu i prednizolonu (IST, ang. immunosuppressive therapy), w dożywnym (54-letnim) horyzoncie czasowym, w dwóch równoległych wariantach z podziałem na subpopulacje. Pierwszy wariant dotyczy pacjentów po niepowodzeniu leczenia satralizumabem, których w kolejnej linii leczono rawulizumabem. Drugi wariant obejmuje pacjentów niekwalifikujących się do rozpoczęcia leczenia satralizumabem.

Wariant pierwszy

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, stosowanie RAW w miejsce IST u pacjentów po niepowodzeniu leczenia satralizumabem i wiąże się z większymi efektami zdrowotnymi. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ w wariantcie z RSS wyniósł ok. PLN/QALY oraz ok. 1,7 mln PLN/QALY w wariantcie bez RSS. Wartości te znajdują się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Wariant drugi

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, w przypadku pacjentów, którzy nie kwalifikują się do leczenia satralizumabem, stosowanie RAW w miejsce IST i wiąże się z większymi efektami

zdrowotnymi. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ w wariancie z RSS wyniósł ok. [REDAKTOWANO] PLN/QALY oraz ok. 2,6 mln PLN/QALY w wariancie bez RSS. Wartości te znajdują się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Ceny progowe ocenianego produktu leczniczego Ultomiris wynoszą w wariancie pierwszym: dla opakowania 1100 mg: [REDAKTOWANO], dla opakowania 300 mg: [REDAKTOWANO], a w wariancie drugim: [REDAKTOWANO] (Ultomiris 1100 mg) oraz [REDAKTOWANO] (Ultomiris 300 mg).

Ograniczenia

Do głównych ograniczeń analizy ekonomicznej należą: nieuwzględnienie części istotnych komparatorów (rytuksymabu i immunoglobulin), wykorzystanie do modelowania danych opartych na bardzo ograniczonej bazie dowodowej dla pacjentów po niepowodzeniu leczenia SAT, przyjęcie założeń mogących nie odzwierciedlać rzeczywistej populacji docelowej i przebiegu choroby, w tym niespójności dotyczące wyjściowych wartości EDSS, oraz nieobjęcie modelem wszystkich możliwych stanów zdrowia.

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

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 randomizowanych badań klinicznych wykazujących wyższą skuteczność technologii wnioskowanej od technologii dotychczas refundowanych w danym wskazaniu zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

Według oszacowań własnych Agencji wartość ceny zbytu netto produktu leczniczego Ultomiris, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania, tj. leczenia immunosupresyjnego obejmującego azatioprynę, mykofenolan mofetylu i prednizolon, wynosi 6 152,50 PLN za opakowanie 1100 mg. Szacunki dotyczą stosowania dawki podtrzymującej i nie uwzględniają podawania dawki nasycającej.

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

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w 2-letnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), tożsamej z perspektywą wspólną.

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

Wyniki analizy wskazują, że objęcie refundacją produktu leczniczego Ultomiris w ocenianym wskazaniu spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego o:

- bez uwzględnienia RSS:

- ok. 25,47 mln PLN [REDAKTOWANO] w I roku refundacji,
- ok. 42,86 mln PLN [REDAKTOWANO] w II roku refundacji;

- z uwzględnieniem RSS:

- ok. [REDAKTOWANO] w I roku refundacji,
- ok. [REDAKTOWANO] w II roku refundacji.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami analizy wpływu na budżet są niepewność związana z oszacowaniem liczby pacjentów niekwalifikujących się do leczenia satralizumabem oraz nieuwzględnienie wszystkich technologii opcjonalnych, w szczególności rytuksymabu i immunoglobulin.

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

[REDAKTOWANO]

Uwagi do programu lekowego

Zlecenie MZ obejmowało prośbę o odniesienie się do rozbieżności w wartościach EDSS pomiędzy kryteriami kwalifikacji do leczenia RAW i SAT oraz o ocenę potencjalnego wpływu usunięcia

podrozdziału „Kryteria uniemożliwiające włączenie do programu” i przeniesienia zawartych w nim wymagań do kryteriów kwalifikacji.

Ankietowani przez Agencję eksperci opowiedzieli się za utrzymaniem możliwości leczenia rawulizumabem pacjentów z EDSS $\leq 7,0$ oraz za przeniesieniem „kryteriów uniemożliwiających włączenie do programu” do kryteriów kwalifikacji. Według ekspertów zmiana ta nie powinna istotnie wpłynąć na liczebność populacji objętej programem lub może prowadzić jedynie do jej nieznacznego zwiększenia. Analitycy Agencji zwrócili uwagę, że usunięcie szczegółowych kryteriów wykluczenia i zastąpienie ich odniesieniem do zapisów ChPL może rozszerzyć populację kwalifikującą się do programu. Jednocześnie podkreślono brak danych pozwalających ocenić rzeczywistą skalę tego wpływu oraz niepewność wynikającą z ograniczonych dowodów dotyczących części chorych dotychczas wyłączanych z leczenia.

Pozostałe uwagi do programu lekowego zostały przedstawione w Analizie weryfikacyjnej.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono cztery dokumenty dotyczące leczenia pacjentów z NMOSD z obecnością przeciwciał anty-AQP4 (AQP4-IgG+): (PTN 2025, NEMOS 2024, konsensusy ekspertów: MENACTRIMS 2026, SNS 2025).

Odnalezione wytyczne są spójne co do zasadności jak najwcześniejszego wdrożenia długoterminowej immunoterapii u pacjentów z NMOSD AQP4-IgG+, ze względu na wysokie ryzyko nieodwracalnych deficytów neurologicznych związanych z kolejnymi rzutami choroby.

W leczeniu długoterminowym rekomendowane są przeciwciała monoklonalne, w tym inhibitory dopełniacza (ekulizumab, rawulizumab), terapie ukierunkowane na limfocyty B (rytuksymab, inebilizumab) oraz inhibitory szlaku IL-6 (satralizumab, tocilizumab). Rawulizumab uwzględniono w wytycznych zagranicznych, jednak nie został wymieniony w wytycznych PTN 2025. Większość dokumentów wskazuje przeciwciała monoklonalne jako preferowane opcje leczenia długoterminowego, jednocześnie w wytycznych NEMOS 2024 podkreśla się brak dowodów wysokiej jakości potwierdzających przewagę którejkolwiek z tych terapii nad pozostałymi. Polskie wytyczne PTN 2025 jako możliwe leczenie pierwszego rzutu wymieniają ekulizumab, inebilizumab i satralizumab.

Klasyczne leki immunosupresyjne, takie jak azatiopryna, mykofenolan mofetylu i doustne glikokortykosteroidy, są obecnie traktowane głównie jako leczenie alternatywne lub drugiego wyboru. NEMOS 2024 dopuszcza również stosowanie IVIg w wybranych sytuacjach klinicznych.

W przypadku niepowodzenia leczenia klasycznymi lekami immunosupresyjnymi zaleca się zmianę terapii na przeciwciało monoklonalne, natomiast w przypadku nieskuteczności leczenia przeciwciałem monoklonalnym zaleca się zastosowanie innego przeciwciała monoklonalnego, preferencyjnie o odmiennym mechanizmie działania (NEMOS 2024, MENACTRIMS 2026).

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 11 dokumentów dotyczących ocen i/lub rekomendacji refundacyjnych rawulizumabu w leczeniu NMOSD:

- trzy rekomendacje pozytywne (ZIN 2025, PBAC 2024, HAS 2023b);
- jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CDA-AMC 2024);
- trzy rekomendacje negatywne (Medicinerådet 2026, G-BA 2023, HAS 2023a);
- jedno zalecenie przeprowadzenia pełnej oceny HTA (NCPE 2025);
- trzy komunikaty o braku możliwości dokonania oceny (SMC 2024, AWTTC 2023, NICE 2023).

Należy podkreślić, że żadna z organizacji nie analizowała stosowania RAW we wskazaniu zgodnym z wnioskowanym (tj. po niepowodzeniu leczenia satralizumabem lub w przypadku braku możliwości jego zastosowania). Większość organizacji HTA oceniała rawulizumab w populacji dorosłych pacjentów z NMOSD i z obecnością przeciwciał przeciwko AQP4. Część ocen dotyczyła bardziej zawężonych populacji, obejmujących pacjentów po niepowodzeniu leczenia immunosupresyjnego lub rytuksymabem (HAS 2023b, PBAC 2024, Medicinerådet 2026).

W uzasadnieniach pozytywnych stanowisk podkreślano przede wszystkim skuteczność RAW w ograniczaniu ryzyka nawrotów choroby, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną oraz porównywalną

skuteczność względem innych terapii stosowanych w NMOSD, w tym ekulizumabu, satralizumabu i inebilizumabu (ZIN 2025, CDA-AMC 2024, HAS 2023b, PBAC 2024). W części ocen wskazywano ponadto na konieczność zapewnienia neutralności kosztowej dla płatnika lub obniżenia ceny leku (ZIN 2025, CDA-AMC 2024).

Argumentami uzasadniającymi stanowiska negatywne były: niewykazanie dodatkowej korzyści ze stosowania RAW względem odpowiednich terapii porównawczych, tj. leczenia immunosupresyjnego (Medicinrådet 2026), ekulizumabu (HAS 2023a, G-BA 2023) i satralizumabu (G-BA 2023), brak badań bezpośrednio porównujących RAW z komparatorami, tj. ekulizumabem i satralizumabem (G-BA 2023), brak zaspokojenia potrzeby zdrowotnej (HAS 2023a) oraz wysoka cena leku (Medicinrådet 2026).

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę (stan na 07.08.2026 r.) produkt leczniczy Ultomiris we wskazaniu NMOSD jest refundowany w 11 krajach UE i EFTA na 30 wskazanych.

Zakres refundowanych wskazań różni się między krajami, jednak w żadnym z analizowanych państw nie jest ono tożsame z obecnie ocenianym.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 08.05.2026 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.187.2026.12.JWI, PLR.4500.188.2026.12.JWI) dotyczącego przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Ultomiris, Ravulizumabum, w ramach programu lekowego B.138.FM. LECZENIE PACJENTÓW ZE SPEKTRUM ZAPALENIA NERWÓW WZROKOWYCH I RDZENIA KRĘGOWEGO (NMOSD) (ICD-10: G36.0), 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 129/2026.

Z upoważnienia Prezesa
Dr n. med. Przemysław Rzodkiewicz
ZASTĘPCA PREZESA
/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 129/2026 z dnia 7 września 2026 roku w sprawie oceny leku Ultomiris (ravulizumabum) w ramach programu lekowego B.138.FM. „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”
2. Wniosek o objęcie refundacją leku Ultomiris (ravulizumab) w ramach programu lekowego: B.138.FM „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”. Analiza weryfikacyjna DOWM.4131.8.2026. Data ukończenia: 26.08.2026 r.