



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)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Ultomiris (ravulizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 1100 mg, 1 fiol. 11 ml, GTIN: 05391527740162,*
- *Ultomiris (ravulizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg/ml, 1 fiol. 3 ml, GTIN: 05391527740179,*

w ramach programu lekowego B.138.FM. „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Ultomiris (rawulizumab) w postaci koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji w fiolkach 11 ml (1100 mg) i 3 ml (300 mg) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z chorobą ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD, ang. neuromyelitis optica spectrum disorder), z obecnością przeciwciał przeciwko akwaporynie 4 (AQP4, ang. aquaporin-4), w przypadku niepowodzenia leczenia satralizumabem lub braku możliwości jego zastosowania w ramach istniejącego programu lekowego „B.138.FM Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G.36.0)”.

Rawulizumab jest przeciwciałem monoklonalnym IgG_{2/4K}, 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 [ang. membrane attack complex, MAC lub C5b-9] i zapobiegając wytwarzaniu C5b-9.

Oceniana technologia jest obecnie objęta refundacją w ramach grupy limitowej „1285.0, Rawulizumab”. Objęcie refundacją produktu leczniczego Ultomiris w dodatkowym wskazaniu nie spowoduje zmian w zakresie kwalifikacji do grupy limitowej.

Choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) są rzadkimi, poważnymi schorzeniami autoimmunologicznymi ośrodkowego układu nerwowego (OUN). Surowica pacjentów z NMOSD zawiera przeciwciała klasy IgG1 skierowane przeciwko akwaporynie-4 (AQP4 Ab). Główną cechą NMOSD są rzuty zapalenia nerwu wzrokowego oraz rdzenia kręgowego, które prowadzą do nieuchronnego postępu trwałej i nieodwracalnej niepełnosprawności. Zaburzeniom widzenia często towarzyszą ciężkie zaburzenia ruchowe. Występują zaburzenia czynności jelit/pęcherza. Uszkodzeniom pnia mózgu towarzyszą nudności, wymioty i czkawka. Chorobie często towarzyszy ból, szczególnie w tułowie i dolnych częściach kończyn. Podstawowym celem leczenia jest zapobieganie nawrotom choroby prowadzącym do ślepoty, paraliżu i pogorszenia jakości życia. Charakterystyczna dla NMOSD jest wysoka śmiertelność, która wynosi obecnie od około 2-10% rocznie.

W Polsce liczba pacjentów z NMOSD jest szacowana na około od 200 do 500 osób, a liczba nowych zachorowań na około 10-40 przypadków rocznie.

Dowody naukowe

Istotnymi ograniczeniami analizy klinicznej są: nieuwzględnienie rytuksymabu i immunoglobulin jako komparatorów, ograniczona liczba dostępnych dowodów naukowych oraz brak badań zgodnych z populacją docelową programu lekowego.

Do analizy klinicznej, której celem była ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania RAW w populacji dorosłych z NMOSD AQP4-IgG+ z przeciwwskazaniami do SAT, włączono jednoramienne badanie CHAMPION-NMOSD bez randomizacji porównujące RAW±IST z zewnętrzną grupą kontrolną PLC±IST z RCT PREVENT oraz jednoramienne badanie z praktyki klinicznej (Sato 2025) u chorych, u których SAT nie był skuteczny. Ponadto przedstawiono dane z trzech publikacji zawierających opisy przypadków stosowania RAW u pacjentów wcześniej leczonych SAT (Amano 2025, Jacob 2025, Takahashi 2025).

Wykazano istotne statystycznie wydłużenie czasu do wystąpienia pierwszego potwierdzonego rzutu choroby na korzyść RAW w porównaniu z zewnętrzną kohortą placebo z badania PREVENT w całej badanej populacji [HR=0,014 z 95%CI; $p<0,0001$], a także u chorych otrzymujących dodatkowo IST [HR=0,031 (95%CI: $p<0,0001$]. U żadnego pacjenta leczonego RAW nie wystąpił potwierdzony rzut choroby, natomiast w zewnętrznej kohorcie PLC rzut odnotowano u 42,6% pacjentów (27,7% pacjentów z grupy kontrolnej otrzymywało wyłącznie placebo) (Pittock 2023). W trakcie długoterminowej obserwacji (189,7 pacjentolat) u żadnego z 58 pacjentów leczonych RAW nie odnotowano potwierdzonego rzutu. U 63 % pacjentów stosujących wyjściowo leczenie immunosupresyjne zmniejszono dawkę lub zakończono stosowanie co najmniej jednego leku immunosupresyjnego (Pittock 2026).

W grupie chorych, u których SAT nie był skuteczny, podczas stosowania RAW, trwającego co najmniej 6 miesięcy, 10 z 11 pacjentów pozostało wolnych od rzutu, natomiast u jednego pacjenta rzut wystąpił po 2 miesiącach od zmiany terapii (ARR=0,09). Po 12 miesiącach leczenia wykazano istotne statystycznie zmniejszenie średniej dobowej dawki glikokortykosteroidów. U żadnego pacjenta nie odnotowano pogorszenia wyniku EDSS (Sato 2025).

Odpowiednio w fazie podstawowej oraz fazie podstawowej i LTE, zdarzenia niepożądane związane z leczeniem RAW odnotowano u 44,8% i u 46,6% pacjentów, natomiast ciężkie zdarzenia niepożądane odnotowano u 15,5% i 27,6% pacjentów. Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych należały: COVID-19 (24,1% vs. 48,3%), ból głowy (24,1% vs. 32,8%), zakażenie dróg moczowych (10,3% vs. 17,2%).

Wytyczne kliniczne

W leczeniu długoterminowym NMOSD AQP4-IgG+ rekomendowane są przeciwciała monoklonalne: inhibitory C5 (ekulizumab, rawulizumab), terapie anty-CD19/CD20 (inebilizumab, rytuksymab) oraz inhibitory IL-6 (satralizumab, tocilizumab) (NEMOS 2024, MENACTRIMS 2026, SNS 2025). Jako leczenie pierwszej linii wskazywane są głównie: rytuksymab, ekulizumab, rawulizumab, inebilizumab i satralizumab, bez wykazanej przewagi którejkolwiek terapii (NEMOS 2024, MENACTRIMS 2026). W przypadku niepowodzenia leczenia zaleca się zmianę na inne przeciwciała monoklonalne, najlepiej o odmiennym mechanizmie działania. Klasyczne leki immunosupresyjne (azatiopryna, mykofenolan mofetylu, doustne GKS) stanowią leczenie alternatywne (PTN 2025) lub drugiego wyboru (NEMOS 2024, SNS 2025, MENACTRIMS 2026).

Polskie wytyczne (PTN 2025) uwzględniają: ekulizumab, inebilizumab, satralizumab i rytuksymab; nie odnoszą się do rawulizumabu.

IVIg mogą być stosowane w wybranych sytuacjach klinicznych (m.in. przy przeciwwskazaniach do innych terapii lub hipogammaglobulinemii) (NEMOS 2024).

W Polsce dla pacjentów z NMOSD i obecnością przeciwciał anty-AQP4 satralizumab jest refundowany w ramach programu lekowego B.138.FM. Rytuksymab (RTX) jest dostępny w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Lekowych), immunoglobuliny dostępne są w ramach programu lekowego B.67.

Problem ekonomiczny

Analizę przeprowadzono w dwóch wariantach: wariant I dotyczy pacjentów z niepowodzeniem leczenia SAT, których w kolejnej linii leczono RAW, natomiast wariant II dotyczy pacjentów niekwalifikujących się do leczenia SAT.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, w obu wariantach stosowanie RAW w miejsce IST [] i wiąże się z większymi efektami zdrowotnymi. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ w wariantcie I z RSS wyniósł ok. [] PLN/QALY, a w wariantcie II - ok. [] PLN/QALY. W ramach

wszystkich analizowanych oszacowań wartość ICUR dla porównania RAW vs. IST znajdowała się powyżej progu opłacalności.

Wpływ na budżet płatnika

Wnioskodawca oszacował liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [] w I roku refundacji i [] w II roku refundacji. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Ultomiris w wariancie podstawowym będzie wiązało się ze wzrostem wydatków NFZ o ok. [] PLN w I roku i o ok. [] PLN w II roku refundacji w wariancie z RSS.

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano trzy rekomendacje pozytywne (ZIN 2025, PBAC 2024, HAS 2023b) i jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CDA-AMC 2024). Natomiast odnaleziono trzy rekomendacje negatywne (Medicinerådets 2026, G-BA 2023, HAS 2023a); jedną rekomendację mówiącą o konieczności przeprowadzenia pełnej oceny HTA (NCPE 2025), trzy informacje o braku możliwości dokonania oceny (SMC 2024, AWTTC 2023, NICE 2023). Żadna z organizacji nie analizowała populacji po niepowodzeniu leczenia satralizumabem lub braku możliwości jego zastosowania.

Główne argumenty decyzji:

- brak dowodów naukowych o dodatkowych korzyściach terapeutycznych w stosunku do satralizumabu, który jest refundowany w terapii NMOSD u pacjentów z przeciwciałami anty-AQPR4;
- brak przekonujących danych świadczących o skuteczności rawulizumabu w przypadku, gdy sartalizumab nie może być stosowany;
- brak zaleceń w wytycznych PTN 2025;
- brak wytycznych międzynarodowych dotyczących sekwencji stosowania poszczególnych leków biologicznych;
- znaczny wzrost wydatków płatnika publicznego.

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.4131.8.2026 „Wniosek objęcie refundacją leku Ultomiris (rawulizumab) w ramach programu lekowego: B.138.FM »Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)«”, data ukończenia: 26.08.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakresłone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Alexion Europe SAS).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem 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 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: Alexion Europe SAS.