



**PRODUKT LECZNICZY ASPAVELI® (PEGCETAKOPLAN)
W LECZENIU PACJENTÓW Z GLOMERULOPATIĄ C3
LUB PIERWOTNYM BŁONIASTO-ROZPLEMOWYM
KŁĘBUSZKOWYM ZAPALENIEM NEREK
Z KOMPLEKSAMI IMMUNOLOGICZNYMI**

**UZUPEŁNIENIE DANYCH KLINICZNYCH
– AKTUALIZACJA PRZESZUKANIA MEDYCZNYCH BAZ DANYCH**

Kraków, sierpień 2026

1. INFORMACJE OGÓLNE

Dokonano aktualizacji przeszukania medycznych baz danych zgodnie z założeniami Analizy klinicznej dotyczącej efektywności klinicznej (skuteczności klinicznej i profilu bezpieczeństwa) produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan, 1 080 mg, roztwór do infuzji) stosowanego w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplamowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi.

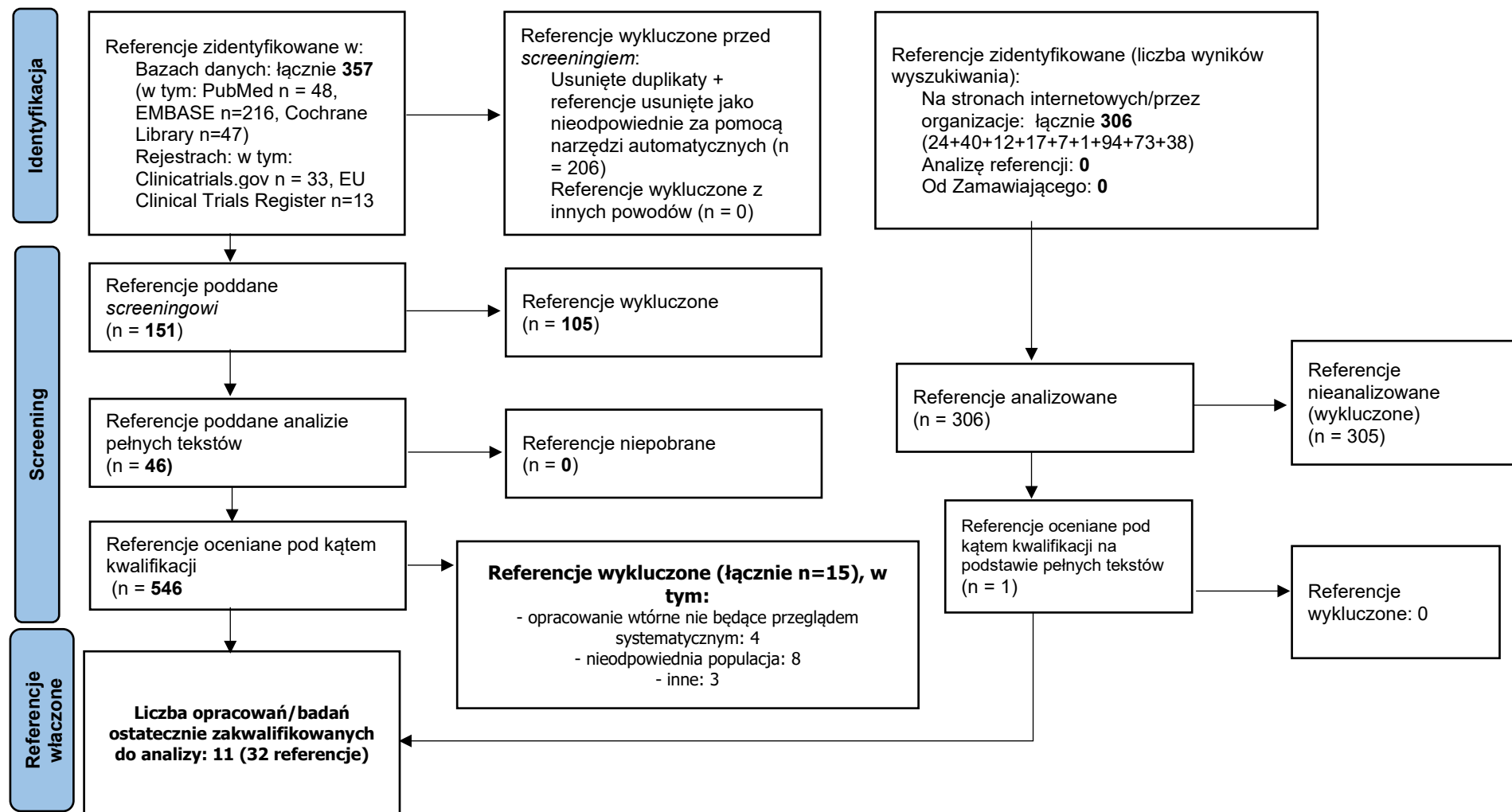
Tabela 1. Strategia i wyniki wyszukiwania opracowań (badań) wtórnych oraz pierwotnych badań klinicznych w bazach: PubMed, Embase oraz Cochrane, dla zastosowania produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z C3G lub IC-MPGN – aktualizacja 31.07.2026 roku.

Zapytanie	Słowa kluczowe/deskryptory	Wynik		
		PubMed ¹	Embase ²	Cochrane ³
Problem zdrowotny				
#1	<i>C3 glomerulopathy OR C3G OR C3 glomerulonephritis OR C3GN OR DDD OR Dense deposit disease OR glomerulopathy OR glomerulonephritis OR Complement 3 Glomerulopathy OR C3G-1 Complement 3 Glomerulopathy 1 OR MPGN II with Complement Factor H Deficiency OR C3G1 C3 glomerulopathy 1 OR CFH Deficiency OR Complement 3 Glomerulonephritis</i> ^{1, 3} <i>c3 AND glomerulopathy OR c3g OR (c3 AND glomerulonephritis) OR c3gn OR ddd OR (dense AND deposit AND disease) OR glomerulopathy OR glomerulonephritis OR (complement AND 3 AND glomerulopathy) OR ('c3g 1' AND complement AND 3 AND glomerulopathy AND 1) OR (mpgn AND ii AND with AND complement AND factor AND h AND deficiency) OR (c3g1 AND c3 AND glomerulopathy AND 1) OR (cfh AND deficiency) OR (complement AND 3 AND glomerulonephritis)</i> ² [all fields]	80 935	113 026	3 157
#2	<i>Immune Complex-mediated Membranoproliferative Glomerulonephritis OR IC Membranoproliferative Glomerulonephritis OR IC-MPGN OR Membranoproliferative Glomerulonephritis OR Complement-Mediated Glomerular Diseases OR Complement-Mediated Glomerular Disease</i> ^{1, 3} <i>immune AND 'complex mediated' AND membranoproliferative AND glomerulonephritis OR (ic AND membranoproliferative AND glomerulonephritis) OR 'ic mpgn' OR (membranoproliferative AND glomerulonephritis) OR ('complement mediated' AND glomerular AND diseases) OR ('complement mediated' AND glomerular AND disease)</i> ² [all fields]	5 075	8 590	143
#3	#1 OR #2	81 003	113 188	3163
Interwencja wnioskowana				
#4	<i>Aspaveli OR Empaveli OR pegcetacoplan</i> ^{1, 3} <i>'aspaveli'/exp OR aspaveli OR 'empaveli'/exp OR empaveli OR 'pegcetacoplan'/exp OR pegcetacoplan</i> ² [broad search]	340	1 084	240
#5	<i>APL2 OR (APL AND 2) OR APL-2</i> ^{1, 3} <i>apl2 OR (apl AND 2) OR 'apl 2'</i> ² [all fields]	413	19 746	654
#6	#4 OR #5	414	20 427	869
Problem zdrowotny + interwencja				
#7	#3 AND #6	48	216	47
#8	#7*	40	43	22
#9	#8^	40	43	-

*Zastosowane filtry w bazie: Pubmed: publikacje od 2025 roku; Embase = *Humans AND [embase]/lim NOT [medline]/lim*; publikacje dodane do bazy EMBASE od 1 listopada 2025 roku do 31 lipca 2026 roku, Cochrane – publikacje dodane do bazy Cochrane od 1 listopada 2025 roku do 31 lipca 2026 roku;
^język: English, Polish.

Tabela 2. Strategia i wyniki wyszukiwania opracowań (badań) wtórnych oraz pierwotnych badań klinicznych w dodatkowych bazach danych, dla zastosowania produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetacoplan) w leczeniu pacjentów z C3G lub IC-MPGN (data ostatniego wyszukiwania: 31.07.2026 roku).

Baza	Zapytanie	Słowa kluczowe	Wynik
Opracowania (badania) wtórne			
Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ)	#1	<i>Aspaveli</i>	0
	#2	<i>Empaveli</i>	0
	#3	<i>pegcetacoplan</i>	0
Centre for Reviews and Dissemination (CRD) https://www.crd.york.ac.uk/CRDWeb/	#1	<i>Aspaveli</i>	0
	#2	<i>Empaveli</i>	0
	#3	<i>pegcetacoplan</i>	0
European Medicines Agency (EMA)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	24
Food and Drug Administration (FDA)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	40
Health Canada (HC)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	12
International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	0
Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	17
National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	7
National Institute for Health Research Health Technology Assessment Programme (NIHR HTA)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	0
Netherlands Pharmacovigilance Centre Lareb	#1	<i>pegcetacoplan</i>	1
The Swedish Council on Health Technology Assessment (SBU)	#1	<i>pegcetacoplan</i>	0
The Uppsala Monitoring Centre	#1	<i>pegcetacoplan</i>	94
Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPLW MiPB)	#1	<i>Aspaveli</i>	0
	#2	<i>Empaveli</i>	0
	#3	<i>Pegcetakoplan</i>	0
Badania pierwotne			
Trip Database	#1	<i>pegcetacoplan OR Aspaveli OR Empaveli</i> zakres dat: 2025-2026	73
U.S. National of Health; www.clinicaltrials.gov	#1	<i>pegcetacoplan</i>	33
EU Clinical Trials Register; www.clinicaltrialsregister.eu	#1	<i>pegcetacoplan</i>	13
European Renal Association, https://www.era-online.org/	#1	<i>pegcetacoplan</i>	0
American Society of Nephrology, https://www.asn-online.org/	#1	<i>pegcetacoplan</i>	38



Schemat 1. Diagram selekcji opracowań wtórnych i badań pierwotnych (zgodny z PRISMA) dotyczących efektywności klinicznej (skuteczności klinicznej i profilu bezpieczeństwa) pegcetakoplanu (produkt leczniczy Aspaveli®) stosowanego w leczeniu pacjentów z C3G lub IC-MPGN – po aktualizacji przeszukania baz względem Analizy klinicznej.

Po uwzględnieniu założonych kryteriów wyszukiwania i przeanalizowaniu tytułów oraz abstraktów odnalezionych referencji, odrzucono nieprzydatne pod względem tematycznym oraz powtarzające się publikacje. W wyniku aktualizacji wyszukiwania odnaleziono:

- dodatkowe referencje do uwzględnionego i opisanego w Analizie klinicznej badania VALIANT wraz z otwartą fazą przedłużoną [1]-[19];
- dodatkową referencję do uwzględnionego i opisanego w Analizie klinicznej badania NOBLE [20];
- badanie z rzeczywistej praktyki klinicznej Bassanese i wsp. 2026 [21]-[23];
- referencje do uwzględnionego i opisanego w Analizie klinicznej badania Mancuso i wsp. [24];
- 6 opisów przypadków [25], [26], [27], [28]-[29], [30], [31];
- dane dotyczące dodatkowej oceny bezpieczeństwa pegcetakoplanu zgłoszone do bazy Netherlands Pharmacovigilance Centre Lareb [32].

Tabela 3. Przyczyny wykluczenia publikacji z aktualizacji analizy klinicznej w oparciu o pełne teksty.

Przyczyna wykluczenia publikacji z analizy klinicznej	Referencje
Nieodpowiedni typ publikacji - edytoriał	[33]
Opracowanie wtórne bez przeglądu systematycznego	[34], [35], [36]
Brak wyników dla pegcetakoplanu	[37]
Nieodpowiedni typ publikacji – przegląd narracyjny	[38]
Mieszane wskazania – brak wyodrębnienia danych dla pegcetakoplanu we wnioskowanym wskazaniu	[39], [40], [41]
Nieodpowiednia populacja - wiek <12 lat w momencie rozpoczęcia terapii pegcetakoplanem	[42], [43], [44], [45]
Nieodpowiednia populacja - proliferative glomerulonephritis with monoclonal immunoglobulin deposits (PGNMID), a nie rozpoznanie C3G ani pierwotnego IC-MPGN	[46]
Tylko ocena farmakokinetyki populacyjnej – model z kilku badań, w tym z populacji pediatrycznej <12 roku życia	[47]

2. OPIS DODATKOWYCH REFERENCJI DO WŁĄCZONEGO DO ANALIZY KLINICZNEJ BADANIA VALIANT

2.1. FAKHOURI I WSP. 2025 [1]

Zidentyfikowana referencja Fakhouri i wsp. 2025 [1] to finalna, opublikowana wersja artykułu znajdującego się w pierwotnej wersji Analizy klinicznej pod nr ref. [2], opublikowane w prestiżowym czasopiśmie naukowym *New England Journal of Medicine* (z dnia 4 grudnia 2025 r.). Posiada ona ostateczny układ graficzny, numery stron czasopisma. **Wszystkie kluczowe wyniki skuteczności i bezpieczeństwa z badania VALIANT przedstawione w publikacji Fakhouri 2025 [1] są zawarte w dokumencie Analizy Klinicznej i wykazują pełną zbieżność danych.**

2.2. ANALIZY W SUBPOPULACJI PEDIATRYCZNEJ Z BADANIA VALIANT (NASTOLATKOWIE - MŁODZIEŻ)

Celem pracy Vivarelli i wsp. 2026 [2] była ocena skuteczności i bezpieczeństwa pegcetakoplanu u młodzieży (12-17 lat) z C3G lub pierwotnym IC-MPGN uczestniczącej w badaniu fazy III VALIANT oraz sprawdzenie, czy efekty leczenia w tej grupie są zgodne z wynikami uzyskanymi w całej populacji badania. Autorzy analizowali wpływ pegcetakoplanu na białkomocz, czynność nerek oraz profil bezpieczeństwa w porównaniu z placebo.

Analiza objęła subpopulację 55 nastolatków w wieku 12-17 lat (28 pacjentów otrzymujących pegcetakoplan i 27 otrzymujących placebo) z C3G albo pierwotnym IC-MPGN. Skuteczność oceniano głównie na podstawie zmiany wskaźnika białkomoczu UPCR po 26 tygodniach leczenia, a także odsetka pacjentów osiągających złożony punkt końcowy nerkowy ($\geq 50\%$ redukcja UPCR przy stabilnym eGFR), zmian eGFR oraz analizy działań niepożądanych zgłaszanych podczas badania

Tabela 4. Charakterystyka wyjściowa populacji ogólnej oraz subpopulacji nastolatków (12-17 lat) włączonej do badania VALIANT [2].

Cecha	Subpopulacja młodzieży (12-17 lat)		Cała populacja z badania VALIANT	
	Pegcetakoplan	Placebo	Pegcetakoplan	Placebo
Pacjenci, n (%)	28 (44)	27 (44)	63 (100)	61 (100)
Wiek (lata), średnia (SD)	14,6 (1,7)	14,8 (1,8)	28,2 (17,1)	23,6 (14,3)
Wzrost (cm), mediana (IQR)	163,05 (155,25–173,55)	165,00 (160,40–175,80)	163,10 (158,00–172,00)	166,30 (161,10–178,00)
Masa ciała (kg), mediana (IQR)	56,20 (47,70–62,80)	54,40 (50,50–66,20)	62,20 (53,80–70,00)	60,00 (53,30–72,00)
Kobiety, n (%)	18 (64)	14 (52)	37 (59)	33 (54)
Mężczyźni, n (%)	10 (36)	13 (48)	26 (41)	28 (46)
Rasa				
Rdzeni Amerykanie/Alaska Native, n (%)	1 (4)	0	1 (2)	0
Azjaci, n (%)	3 (11)	4 (15)	9 (14)	9 (15)
Osoby czarnoskóre, n (%)	1 (4)	0	1 (2)	0
Inna rasa, n (%)	3 (11)	4 (15)	7 (11)	6 (10)
Osoby białe, n (%)	20 (71)	19 (70)	45 (71)	46 (75)
Pozostałe parametry				
Wyjściowy 24-godzinny UPCR, g/g, średnia (SD)	4,6 (3,8)	4,0 (3,4)	4,0 (2,9)	3,3 (2,4)
Wyjściowy FMU UPCR, g/g, średnia (SD)	3,5 (3,1)	2,6 (2,3)	3,1 (2,4)	2,5 (2,0)
Wyjściowy eGFR, ml/min/1,73 m², średnia (SD)	92,8 (32,4)	94,0 (34,3)	78,5 (34,1)	87,2 (37,2)
C3G, n (%)	21 (75)	17 (63)	51 (81)	45 (74)

Cecha	Subpopulacja młodzieży (12-17 lat)		Cała populacja z badania VALIANT	
	Pegcetakoplan	Placebo	Pegcetakoplan	Placebo
C3GN, n (%)	19 (68)	15 (56)	45 (71)	41 (67)
DDD, n (%)	2 (7)	2 (7)	4 (6)	4 (7)
Pierwotne IC-MPGN, n (%)	7 (25)	10 (37)	12 (19)	16 (26)
Czas od rozpoznania (lata), średnia (SD)	3,3 (2,5)	3,4 (3,5)	3,6 (3,5)	3,8 (3,6)
Nawrót choroby po przeszczepieniu, n (%)	1 (4)	0	5 (8)	4 (7)
Immunosupresja na początku badania, n (%)	22 (79)	21 (78)	47 (75)	42 (69)

Wyniki z zakresu skuteczności

Tabela 5. Wyniki porównania pegcetakoplanu względem placebo w subpopulacji młodzieży (nastolatków w wieku 12-17 lat) włączonej do badania VALIANT [2].

Punkt końcowy	Pegcetakoplan + SOC (N=28)	Placebo + SOC (N=27)	Miara efektu [95% CI]^	Wartość p^ (nominalna)
Procentowa zmiana UPCR po 26 tygodniach względem wartości wyjściowej (główny punkt końcowy)	-74% (95% CI: -83 do -59)	+4% (95% CI: -13 do +23)	Względna redukcja: 75% (59-84)	<0,001
Osiągnięcie złożonego punktu końcowego nerkowego	57% (16/28)	4% (1/27)	OR=36,9 (3,94-346,52)	0,002
Redukcja UPCR $\geq 50\%$	71% (20/28)	4% (1/27)	OR=61,6 (6,91-548,23)	<0,001
Zmiana eGFR po 26 tygodniach (LS mean, ml/min/1,73 m²)	+0,7 (95% CI: -6,3 do 7,7)	-9,0 (95% CI: -15,7 do -2,3)	Różnica: +9,7 ml/min/1,73 m ² (0,0-19,4)	0,05
Pacjenci osiagający UPCR ≤ 1 g/g po 26 tygodniach	46% (13/28)	22% (6/27)	-	-
Pacjenci osiagający UPCR $\leq 0,5$ g/g po 26 tygodniach	39% (11/28)	4% (1/27)	-	-
Pacjenci osiagający UPCR $\leq 0,2$ g/g po 26 tygodniach	29% (8/28)	0%	-	-
Pacjenci z białkomoczem nerczycowym >3 g/g po 26 tygodniach	11%	ND	-	-

* Złożony punkt końcowy nerkowy: stabilny lub poprawiony eGFR (spadek $\leq 15\%$ względem wartości wyjściowej) oraz redukcja UPCR $\geq 50\%$.

^wartości podane w referencji; wszystkie wartości p mają charakter nominalny (niekorygowane na wielokrotne porównania).

*dla parametrów dychotomicznych nie przeprowadzono własnych obliczeń parametrów NNT i NNH, ponieważ analizowane dane dotyczą subpopulacji młodzieży wydzielonej z badania VALIANT. Ze względu na niewielką liczebność tej podgrupy oraz eksploracyjny charakter analizy, oszacowania NNT/NNH byłyby mało precyzyjne i mogłyby prowadzić do nadinterpretacji wyników.

LS mean – średnia liczona metodą najmniejszych kwadratów; eGFR – szacowany współczynnik filtracji kłębuszkowej; OR – iloraz szans; SOC – standardowa opieka; UPCR – wskaźnik białko/kreatynina w moczu; ND – nie raportowano danych.

Po 26 tygodniach leczenia pegcetakoplan doprowadził do istotnej klinicznie redukcji białkomoczu. W grupie aktywnie leczonej odnotowano 74% zmniejszenie UPCR względem wartości wyjściowej, podczas gdy w grupie placebo obserwowano niewielki wzrost tego parametru o 4%. Odpowiadało to względnej redukcji UPCR o 75% na korzyść pegcetakoplanu (95% CI: 59-84%; $p < 0,001$). Efekt terapeutyczny był widoczny już od 4. tygodnia leczenia i utrzymywał się do końca okresu randomizowanego.

Pegcetakoplan istotnie zwiększał również odsetek pacjentów osiągających złożony punkt końcowy nerkowy definiowany jako jednoczesne uzyskanie co najmniej 50% redukcji UPCR oraz utrzymanie stabilnej czynności nerek (spadek $eGFR \leq 15\%$). Kryterium to spełniło 57% pacjentów leczonych pegcetakoplanem wobec 4% otrzymujących placebo (OR=36,9; 95% CI: 3,94-346,52; $p=0,002$). Również analiza odpowiedzi dotyczącej białkomoczu wskazywała na wyraźną przewagę leczenia aktywnego. Redukcję UPCR o co najmniej 50% osiągnęło 71% pacjentów w grupie pegcetakoplanu i jedynie 4% w grupie placebo (OR=61,6; 95% CI: 6,91-548,23; $p < 0,001$).

W zakresie czynności nerek obserwowano stabilizację $eGFR$ u pacjentów otrzymujących pegcetakoplan. Średnia zmiana $eGFR$ po 26 tygodniach wyniosła $+0,7 \text{ ml/min/1,73 m}^2$ w grupie aktywnej, podczas gdy w grupie placebo stwierdzono spadek o $9,0 \text{ ml/min/1,73 m}^2$. Różnica pomiędzy grupami wyniosła $9,7 \text{ ml/min/1,73 m}^2$ (95% CI: 0,0-19,4; $p=0,05$), wskazując na zahamowanie progresji choroby w grupie leczonej pegcetakoplanem.

Dodatkowa analiza rozkładu białkomoczu wykazała, że po 26 tygodniach leczenia 46% pacjentów otrzymujących pegcetakoplan osiągnęło $UPCR \leq 1 \text{ g/g}$, 39% osiągnęło $UPCR \leq 0,5 \text{ g/g}$, a 29% uzyskało normalizację białkomoczu ($UPCR \leq 0,2 \text{ g/g}$). Jednocześnie odsetek pacjentów z białkomoczem nerczycowym ($>3 \text{ g/g}$) zmniejszył się z 39% na początku badania do 11% po 26 tygodniach terapii. Podsumowując, wyniki uzyskane w populacji młodzieży były zgodne z rezultatami obserwowanymi w całej populacji badania VALIANT. Leczenie pegcetakoplanem prowadziło do znaczącej redukcji białkomoczu, zwiększało odsetek pacjentów osiągających odpowiedź nerkową oraz stabilizowało funkcję nerek, co sugeruje skuteczne hamowanie aktywności choroby u nastolatków z C3G lub pierwotnym IC-MPGN.

Wyniki z zakresu bezpieczeństwa

Tabela 6. Zdarzenia niepożądane pojawiające się w trakcie (TEAE) leczenia w subpopulacji młodzieży (nastolatków w wieku 12-17 lat) włączonej do badania VALIANT [2]*.

Pacjenci, n (%)	Pegcetakoplan (N=28)	Placebo (N=27)
TEAE*	23 (82)	26 (96)
Łagodne	12 (43)	11 (41)
Umiarkowane	9 (32)	14 (52)

Pacjenci, n (%)	Pegcetakoplan (N=28)	Placebo (N=27)
Poważne	2 (7)	1 (4)
TEAE związane z leczeniem	13 (46)	11 (41)
Ciężkie TEAE	3 (11)	3 (11)
TEAE prowadzące do przerwania udziału w badaniu	0	1 (4)
Zgony	0	0
Zakażenia	13 (46%)	13 (48%)
Gorączka	7 (25%)	6 (22%)
Zapalenie jamy nosowej i gardła	7 (25%)	4 (15%)

*Nie obliczano wskaźników NNT i NNH, ponieważ analizowane dane dotyczą subpopulacji młodzieży wydzielonej z badania VALIANT. Ze względu na niewielką liczebność tej podgrupy oraz eksploracyjny charakter analizy, oszacowania NNT/NNH byłyby mało precyzyjne i mogłyby prowadzić do nadinterpretacji wyników.

W okresie 26 tygodni randomizowanej części badania zdarzenia niepożądane zaistniały w trakcie leczenia (TEAE) wystąpiły u 82% pacjentów w grupie pegcetakoplanu i u 96% pacjentów w grupie placebo. Większość zgłaszanych zdarzeń miała charakter łagodny lub umiarkowany; poważne TEAE odnotowano odpowiednio u 7% i 4% pacjentów.

Zdarzenia niepożądane uznane przez badaczy za związane z leczeniem wystąpiły u 46% pacjentów otrzymujących pegcetakoplan oraz u 41% pacjentów w grupie placebo. Ciężkie zdarzenia niepożądane obserwowano z taką samą częstością w obu grupach i dotyczyły 11% pacjentów.

W grupie pegcetakoplanu do ciężkich zdarzeń niepożądanych zaliczono pogorszenie nadciśnienia tętniczego, zakażenie wirusem grypy A z towarzyszącym ostrym uszkodzeniem nerek oraz gorączkę o nieustalonej etiologii. Jedynie przypadek gorączki został uznany przez badacza za związany z leczeniem, przy czym zdarzenie miało charakter przemijający, nie wymagało modyfikacji dawkowania i nie doprowadziło do przerwania terapii. W grupie placebo zgłoszono przypadki pogorszenia ostrego uszkodzenia nerek, infekcji wirusowej z podwyższeniem stężenia kreatyniny oraz ciężką zakończoną poronieniem.

Zakażenia występowały z podobną częstością w obu grupach terapeutycznych (46% w grupie pegcetakoplanu vs 48% w grupie placebo). Najczęściej raportowanymi zdarzeniami były gorączka oraz zapalenie jamy nosowej i gardła. Nie odnotowano żadnego przypadku zakażenia wywołanego przez bakterie otoczkowe, które stanowią szczególne ryzyko podczas terapii wpływających na układ dopęłniacza.

Żadne zdarzenie niepożądane nie doprowadziło do przerwania leczenia w grupie pegcetakoplanu, natomiast jeden pacjent (4%) w grupie placebo zakończył udział w badaniu z powodu TEAE. W trakcie badania nie odnotowano zgonów w żadnej z grup terapeutycznych. Ponadto nie zaobserwowano wpływu leczenia na wzrastanie, masę ciała ani wartości ciśnienia tętniczego.

W subpopulacji młodzieży z badania VALIANT pegcetakoplan charakteryzował się akceptowalnym profilem bezpieczeństwa. Częstość występowania zdarzeń niepożądanych, poważnych zdarzeń niepożądanych oraz zakażeń była zbliżona do obserwowanej w grupie placebo. Nie odnotowano nowych sygnałów bezpieczeństwa, przypadków zakażeń bakteriami otoczkowymi ani zgonów. Wyniki dotyczące bezpieczeństwa były spójne z obserwacjami uzyskanymi w całej populacji badania VALIANT, co wskazuje na dobrą tolerancję pegcetakoplanu również w populacji pacjentów pediatrycznych.

Wyniki z 52-tygodniowej obserwacji w subpopulacji młodzieży

Wyniki badania VALIANT po 52 tygodniach obserwacji potwierdzają trwałą skuteczność i bezpieczeństwo stosowania pegcetakoplanu u młodzieży (12–17 lat) z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym IC-MPGN [6], [7]. PEG-to-PEG: Ta grupa obejmuje pacjentów, którzy otrzymywali pegcetakoplan (PEG) przez pełne 52 tygodnie. PBO-to-PEG: Ta grupa obejmuje pacjentów, którzy przez pierwsze 26 tygodni otrzymywali placebo (PBO), a następnie po zakończeniu fazy kontrolowanej przeszli na leczenie pegcetakoplanem (PEG) na kolejne 26 tygodni fazy otwartej.

Pacjenci przyjmujący pegcetakoplan od początku (grupa PEG-to-PEG) utrzymali znaczną redukcję białkomoczu osiągniętą w 26. tygodniu. Pacjenci, którzy przeszli z placebo na lek (grupa PBO-to-PEG), osiągnęli po zmianie leczenia redukcję białkomoczu porównywalną do tej obserwowanej w pierwszej grupie.

W grupie PEG-to-PEG współczynnik eGFR pozostał stabilny przez cały rok (średnia zmiana: +4,2 ml/min/1,73 m²). W grupie placebo odnotowano spadek eGFR o -9,2 ml/min/1,73 m² w 26. tygodniu, jednak po włączeniu pegcetakoplanu nastąpiła poprawa – w 52. tygodniu średnia zmiana względem wartości wyjściowej wyniosła -4,6 ml/min/1,73 m².

Lek był dobrze tolerowany; 92,5% zdarzeń niepożądanych (TEAE) miało charakter łagodny lub umiarkowany. Co istotne, częstość reakcji związanych z infuzją w grupie PEG-to-PEG spadła z 33,3% w pierwszej fazie do 9,8% w fazie otwartej, co wskazuje na wzrost tolerancji leku przez pacjentów w miarę upływu czasu. Nie odnotowano zgonów ani przypadków utraty przeszczepu [6], [7].

Tabela 7. Wyniki 52-tygodniowe badania VALIANT w subpopulacji młodzieży [6], [7].

Parametr	Grupa PEG-to-PEG (Leczenie przez 52 tyg.)	Grupa PBO-to-PEG (Leczenie przez 26 tyg. otwartej fazy przedłużonej)
Białkomocz (UPCR)	Utrzymanie trwałej redukcji z 26. tygodnia	Osiągnięcie redukcji porównywalnej do grupy PEG
Zmiana eGFR (ml/min/1,73 m²)	+4,2 (stabilizacja/poprawa)	-4,6 (poprawa z poziomu -9,2 w 26. tyg.)
Reakcje w miejscu infuzji	Spadek częstości z 33,3% do 9,8%	Dane spójne z ogólnym profilem bezpieczeństwa
Zgony / Utrata przeszczepu	0	0

2.3. DODATKOWE WYNIKI Z BADANIA VALIANT Z POZOSTAŁYCH ABSTRAKTÓW KONFERENCYJNYCH

Tabela 8. Dodatkowe wyniki badania VALIANT z zidentyfikowanych abstraktów konferencyjnych (uwzględniono tylko dane niezawarte w AKL oraz w referencjach do badania VALIANT opisanych powyżej).

Abstrakt	Subpopulacja	Skuteczność/bezpieczeństwo
Młodzież (12-17 lat)		
Ariceta i wsp. 2024 [3]	Subpopulacja młodzieży	Brak nowych danych
Hayes i wsp. 2025 [4]	Subpopulacja młodzieży	Białkomocz (UPCR) Pegcetakoplan wykazał silną i trwałą skuteczność w redukcji białkomoczu: Tydzień 26: W grupie leczonej odnotowano względną redukcję UPCR o -73,6% (95% CI: -83,1; -58,6) Tydzień 52: Efekt terapeutyczny został utrzymany w długim terminie, ze średnią redukcją UPCR na poziomie -71,8% (95% CI: -82,9; -53,6) w populacji nastolatków Zbieżność grup: Pacjenci przechodzący z placebo na lek (PBO-to-PEG) osiągnęli wyniki spójne z grupą leczoną od początku Funkcja nerek (eGFR) Leczenie pegcetakoplanem pozwoliło na zachowanie funkcji nerek i zapobiegło spadkowi eGFR obserwowanemu w grupie kontrolnej: Tydzień 26: Średnia zmiana eGFR wyniosła +0,7 (SD 3,6) ml/min/1,73 m² Tydzień 52: Funkcja nerek pozostała stabilna przez cały rok obserwacji, osiągając średnią zmianę +3,2 (SD 4,1) ml/min/1,73 m² <u>Analiza podgrupy wysokiego ryzyka (Białkomocz nerczycowy)</u> W grupie 11 pacjentów z białkomoczem w zakresie nerczycowym (UPCR 3 g/g) odnotowano klinicznie istotną poprawę do 26. tygodnia: 90,9% (10 z 11) pacjentów osiągnęło redukcję białkomoczu o co najmniej 50% 72,7% (8 z 11) pacjentów zredukowało UPCR poniżej progu nerczycowego (< 3 g/g) Normalizacja albumin: U 75% (6 z 8) pacjentów z wyjściową hipoalbuminią nastąpiła normalizacja poziomu albumin w surowicy (w grupie placebo nie odnotowano żadnego przypadku normalizacji)
Kanzelmeyer 2026 [9]	Subpopulacja młodzieży z zespołem nerczycowym	Redukcja ciężkiego białkomoczu: 72,7% nastolatków z białkomoczem nerczycowym zredukowało go poniżej progu 3 g/g do 26. tygodnia, co wskazuje na klinicznie istotne zmniejszenie białkomoczu; wpływ na długoterminowe ryzyko niewydolności nerek wymaga potwierdzenia
Greenbaum i wsp. 2026 [10]	Subpopulacja młodzieży	Dane zbieżne z Hayes i wsp. 2025 [4]
Licht i wsp. 2025 [11]	Subpopulacja młodzieży z zespołem nerczycowym	Analiza podgrupy nerczycowej: 90,9% pacjentów z UPCR 3 g/g osiągnęło redukcję białkomoczu o 50%. Normalizacja albuminy: 75% nastolatków z hipoalbuminią uzyskało prawidłowe stężenie albuminy w surowicy (vs 0% w placebo). Biomarkery: Szybki wzrost C3 i spadek sC5b-9 widoczny już od 4. tygodnia leczenia
Mastrangelo i wsp. 2025 [13]	Subpopulacja młodzieży	Wskazanie konkretnego poważnego zdarzenia niepożądanego (gorączka o nieustalonej przyczynie), które badacze uznali za bezpośrednio związane ze stosowaniem pegcetakoplanu u młodzieży
Viverelli i wsp. 2025 [19]	Subpopulacja młodzieży	Brak dodatkowych danych względem Analizy klinicznej i danych opisanych w niniejszym uzupełnieniu danych klinicznych po aktualizacji; wyniki zbieżne z Vivarelli i wsp. 2026 [2]
Pozostałe analizy		
Gale i wsp. 2025 [5]	Ogólna	W analizie badano wpływ pegcetakoplanu na parametry dysregulacji dopełniacza oraz oceniano klinicznie istotne przesunięcia pacjentów między zakresami białkomoczu (UPCR), aby określić potencjał leku do

Abstrakt	Subpopulacja	Skuteczność/bezpieczeństwo
		zapobiegania długoterminowej progresji choroby w kierunku niewydolności nerek. Leczenie pegcetakoplanem prowadzi do szybkiej i trwałej normalizacji biomarkerów układu dopełniacza poprzez wzrost stężenia składowej C3 w surowicy oraz redukcję poziomu rozpuszczalnego kompleksu sC5b-9, co skutkuje skutecznym usuwaniem złogów C3 z kłębuszków nerkowych.
Kavanagh i wsp. 2025 [8]	Subpopulacje stosujące i niestosujące immunosupresantów	Szczegółowe dane liczbowe dotyczące skuteczności pegcetakoplanu w podziale na pacjentów stosujących i niestosujących leczenia immunosupresyjnego (IS). Względna redukcja białkomoczu (UPCR): 70,3% u pacjentów z IS oraz 64,5% u pacjentów bez IS Redukcja barwienia C3c (>2 OOM): wykazano znaczną różnicę w odsetku odpowiedzi na korzyść pacjentów bez leczenia immunosupresyjnego (88,9% vs 69,2% w grupie z IS) Różnica w eGFR (PEG vs PBO): Podano konkretne różnice w zmianie eGFR: +6,8 ml/min/1,73 m ² dla grupy z IS oraz +5,0 ml/min/1,73 m ² dla grupy bez IS Szczegóły bezpieczeństwa: Sprecyzowano, że jedyny odnotowany w badaniu zgon (z powodu COVID-19, niezwiązany z lekiem) wystąpił w grupie pacjentów stosujących leczenie immunosupresyjne
Oosterveld i wsp. 2025 [12]	subpopulacja pacjentów z nawrotem choroby po przeszczepieniu nerki w badaniu	Precyzyjne wyniki skuteczności dla subpopulacji po przeszczepie w VALIANT; w wyniku zastosowania pegcetakoplanu: - Redukcja białkomoczu (UPCR): względna redukcja UPCR dla tej grupy wynosząca 64,9% (95% CI: -85,9; -12,9; p = 0,0241) - Złożony punkt końcowy dotyczący nerek: 60% (3 z 5) pacjentów w grupie pegcetakoplanu osiągnęło ten punkt, w porównaniu do 0% (0 z 4) w grupie placebo. - Wykazano różnicę względną w zmianie eGFR na korzyść leku wynoszącą +9,3 ml/min/1,73 m ² względem placebo; - U wszystkich czterech pacjentów dorosłych leczonych pegcetakoplanem, u których dostępna była biopsja, odnotowano redukcję intensywności barwienia C3c (vs 25% w grupie placebo) - Specyficzne bezpieczeństwo przeszczepu: nie odnotowano żadnych epizodów odrzucenia ani utraty przeszczepu w okresie 26 tygodni.
Vivarelli i wsp. 2025 [14]	Subpopulacja pacjentów z białkomoczem nerczycowym (UPCR > 3 g/g)	W subpopulacji pacjentów z białkomoczem nerczycowym (UPCR > 3 g/g): - Wyższa skuteczność pegcetakoplanu w redukcji białkomoczu: W grupie nerczycowej pegcetakoplan wywołał relatywną redukcję UPCR o 72,1% względem placebo (p < 0,0001), co jest wynikiem silniejszym niż ogólne 68,1% raportowane dla całej populacji badania; - U pacjentów z białkomoczem nerczycowym odnotowano średnią zmianę eGFR o +4,7 ml/min/1,73 m ² , co przekłada się na relatywną poprawę względem placebo aż o +16,2 ml/min/1,73 m ² (p = 0,0046); jest to jeden z najsilniejszych dowodów na ochronne działanie leku w populacji o najgorszym rokowaniu; - Normalizacja albuminy: 66,7% (10 z 15) pacjentów z wyjściową hipoalbuminemią uzyskało normalizację poziomu albuminy w surowicy w 26. tygodniu (w grupie placebo wynik wyniósł 0%); - Wykazano, że aż 84,6% (11 z 13) pacjentów z tej podgrupy uzyskało redukcję barwienia C3c w biopsji kontrolnej (wobec 0% w grupie placebo; p = 0,0002)
Fakhouri i wsp. 2025 [15]	-	Brak dodatkowych danych względem Analizy klinicznej i danych opisanych w niniejszym uzupełnieniu danych klinicznych po aktualizacji.
Nester i wsp. 2026 [16]	Subpopulacja z białkomoczem nerczycowym	Brak dodatkowych danych względem Analizy klinicznej i danych opisanych w niniejszym uzupełnieniu danych klinicznych po aktualizacji
Han i wsp. 2026 [17]	Podgrupy pacjentów z niższym wyjściowym białkomoczem (UPCR 1,5 g/g), co autorzy określają jako „łagodniejszy fenotyp kliniczny”	Analiza subpopulacji 40 pacjentów, którzy mieli wyjściowy białkomocz na poziomie 1,5 g/g (mediana 1,1 g/g) po 26 tygodniach: - Redukcja UPCR: pegcetakoplan wywołał w tej grupie redukcję białkomoczu o 71,2% względem placebo (stosunek średnich geometrycznych: 0,288; 95% CI: 0,172–0,483)

Abstrakt	Subpopulacja	Skuteczność/bezpieczeństwo
		- Odpowiedź terapeutyczna (50%): zż 66,7% (10 z 15) pacjentów leczonych lekiem osiągnęło redukcję UPCR o co najmniej połowę, w porównaniu do zaledwie 8,0% w grupie placebo (p = 0,0012) - Remisja częściowa (0,5 g/g): osiągnięta przez 66,7% pacjentów z tej podgrupy (w populacji ogólnej raportowanej w AKI było to 31,8%) - Remisja całkowita/Normalizacja (0,2 g/g): osiągnięta przez 46,7% pacjentów (w populacji ogólnej raportowanej w AKI było to 17,5%)
Bomback 2025 [18]	subpopulacja pacjentów z nawrotem choroby po przeszczepieniu nerki w badaniu	Brak dodatkowych danych względem Analizy klinicznej i danych opisanych w niniejszym uzupełnieniu danych klinicznych po aktualizacji; wyniki zbieżne z Oosterveld i wsp. 2025 [12]

3. DODATKOWA REFERENCJA DO WŁĄCZONEGO DO ANALIZY KLINICZNEJ BADANIA NOBLE

Dane przedstawione w publikacji Bomback 2026 [20] są w pełni zbieżne z wynikami badania NOBLE opisanymi w dokumencie Analizy klinicznej Aspavali. Publikacja Bomback 2026 stanowi przystępne podsumowanie (ang. *Plain Language Summary*) oryginalnego artykułu z 2024 roku, który był jednym z głównych źródeł danych dla analizy klinicznej.

4. WYNIKI BADANIA Z RZECZYWISTEJ PRAKTYKI KLINICZNEJ – BASSANESE I WSP. 2026 [21]-[23]

Dane dotyczące charakterystyki pacjentów, przebiegu leczenia oraz wyników terapii pegcetakoplanem opracowano na podstawie pełnotekstowej wersji publikacji Bassanese i wsp. [21] udostępnionej w formie niezatwierdzonego proofu autorskiego (uncorrected proof) czasopisma *Kidney International*. Należy uwzględnić, że przedstawiony manuskrypt nie przeszedł jeszcze ostatecznej redakcji wydawniczej (uncorrected proof) i może ulec niewielkim zmianom przed publikacją wersji finalnej. Dostępne abstrakty konferencyjne [22] i [23] i publikacja Bassanese i wsp. [21] najprawdopodobniej opierają się na tej samej inicjatywie zbierania danych rzeczywistych (ERKNet/CompCure), jednak nie przedstawiają identycznej populacji ani identycznego punktu odcięcia danych. Publikacja pełnotekstowa stanowi bardziej dojrzałą i szczegółową analizę ograniczoną do pacjentów leczonych pegcetakoplanem, dlatego została uznana jako źródło nadrzędne względem wcześniejszych doniesień konferencyjnych.

Badanie Bassanese i wsp. było wieloośrodkowym, obserwacyjnym badaniem kohortowym typu real-world, przeprowadzonym z wykorzystaniem danych z rejestru CompCure oraz międzynarodowej ankiety obejmującej ośrodki nefrologiczne w Europie i poza Europą.

Celem badania była ocena skuteczności i bezpieczeństwa pegcetakoplanu u pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G), chorobą gęstych złogów (DDD) oraz IC-MPGN, w szczególności w zakresie redukcji białkomoczu, wpływu na funkcję nerek oraz normalizacji aktywności układu dopełniacza.

Do badania włączono 25 pacjentów z potwierdzonym histopatologicznie rozpoznaniem C3G (n=18), DDD (n=3) lub IC-MPGN (n=4). Większość chorych stanowiły dzieci i młodzi dorośli, a mediana wieku w momencie rozpoczęcia leczenia wynosiła 14,9 roku. Pacjenci byli w dużej mierze oporni na wcześniejsze leczenie immunosupresyjne. Mediana wieku w momencie rozpoczęcia terapii przekraczała 12 lat, co oznacza, że leczenie stosowano zgodnie z zarejestrowanym wskazaniem obejmującym pacjentów od 12. roku życia.

Wszyscy pacjenci otrzymywali pegcetakoplan; wcześniej większość chorych była leczona inhibitorami układu RAA, glikokortykosteroidami oraz mykofenolanem mofetylu; część otrzymywała również inne terapie immunosupresyjne. Pegcetakoplan włączano po medianie 2,7 roku od rozpoznania choroby. Mediana czasu leczenia wynosiła 13,3 miesiąca (IQR 5,3-27,1 miesiąca). Pacjentów oceniano po 1, 3, 6 i 12 miesiącach terapii, a łączna ekspozycja na leczenie wyniosła 222 pacjento-miesiące.

Wyniki z zakresu skuteczności:

Leczenie pegcetakoplanem wiązało się z szybką i utrzymującą się redukcją białkomoczu. Średnia geometryczna wartość UPCR zmniejszyła się o 49% po 1 miesiącu, 67% po 3 miesiącach, 81% po 6 miesiącach oraz 71% po 12 miesiącach terapii względem wartości wyjściowej (wszystkie porównania $p < 0,001$).

Całkowitą remisję białkomoczu uzyskano u 3 pacjentów (12%), natomiast częściową remisję u 16 pacjentów (64%). Łącznie 68% chorych osiągnęło wartość UPCR < 1 g/g w ciągu 6 miesięcy leczenia. Oprócz redukcji białkomoczu obserwowano poprawę funkcji nerek. Średnia wartość eGFR zwiększyła się o 9,4 ml/min/1,73 m² po 3 miesiącach ($p = 0,024$) oraz o 12 ml/min/1,73 m² po 6 miesiącach leczenia ($p = 0,005$). Wśród pacjentów z dostępną 12-miesięczną obserwacją czynność nerek pozostawała stabilna.

Normalizację lub ponadnormatywne wartości stężenia C3 uzyskano u niemal wszystkich pacjentów już po pierwszym miesiącu leczenia. Jedynie u jednego chorego utrzymywały się niskie wartości C3, co autorzy wiązali z prawdopodobnym nieprzestrzeganiem zaleceń terapeutycznych.

Trzech pacjentów (12%) nie odpowiedziało na leczenie. Jeden pacjent z C3G oraz dwóch pacjentów z DDD nie wykazało poprawy w zakresie białkomoczu ani funkcji nerek pomimo leczenia.

Wśród 25 leczonych pacjentów 3 pacjentów (12%) zostały uznane za osoby bez odpowiedzi na leczenie, ponieważ nie uzyskano u nich zmniejszenia białkomoczu ani poprawy lub stabilizacji funkcji nerek. Grupa ta obejmowała jednego pacjenta z C3G oraz dwóch pacjentów z DDD; u jednego chorego z DDD obserwowano progresję do schyłkowej niewydolności nerek wymagającej dializoterapii, pomimo leczenia pegcetakoplanem.

Doświadczenia te sugerują, że odpowiedź na leczenie pegcetakoplanem może być ograniczona u części pacjentów, zwłaszcza z DDD i utrzymującą się aktywacją alternatywnej drogi dopełniacza, pomimo normalizacji stężenia C3 w surowicy.

Profil bezpieczeństwa

Ogólnie pegcetakoplan był dobrze tolerowany. W trakcie 222 pacjento-miesięcy ekspozycji odnotowano jedynie dwa zdarzenia niepożądane potencjalnie związane z leczeniem. U jednego pacjenta wystąpiło zapalenie płuc, natomiast u drugiego miejscowa róża skóry w obrębie powłok brzusznych. U żadnego pacjenta, pomimo stosowania leczenia, nie odnotowano zakażeń wywołanych przez bakterie otoczkowe, pod warunkiem stosowania zalecanych szczepień ochronnych [21].

Tabela 9. Wyniki z zakresu skuteczności i bezpieczeństwa w populacji pacjentów z C3G i IC-MPGN leczonych pegcetakoplanem w badaniu z rzeczywistej praktyki klinicznej [21].

Punkt końcowy	Wynik
Liczba pacjentów	25
Czas leczenia (mediana)	13,3 miesiąca
Całkowita ekspozycja	222 pacjento-miesiące
Redukcja uPCR po 1 miesiącu	49%
Redukcja uPCR po 3 miesiącach	67%
Redukcja uPCR po 6 miesiącach	81%
Redukcja uPCR po 12 miesiącach	71%
Pacjenci z uPCR <1 g/g po 6 miesiącach	68%
Całkowita remisja białkomoczu	3/25 (12%)
Częściowa remisja białkomoczu	16/25 (64%)
Wzrost eGFR po 3 miesiącach	+9,4 ml/min/1,73 m ²
Wzrost eGFR po 6 miesiącach	+12 ml/min/1,73 m ²
Normalizacja stężenia C3	24/25 pacjentów
Brak odpowiedzi na leczenie	3/25 (12%)
Potencjalnie związane z leczeniem zdarzenia niepożądane	2 przypadki
Ciężkie zakażenia bakteriami otoczkowymi	0
Ciężkie zdarzenia niepożądane	0

Ograniczenia badania:

- interpretację wyników ogranicza obserwacyjny charakter badania, brak grupy kontrolnej, mała liczebność analizowanej populacji, zwłaszcza w podgrupach DDD i IC-MPGN, heterogenność stosowanego leczenia współtowarzyszącego oraz stosunkowo krótki okres obserwacji. Dodatkowo wpływ terapii na zmiany histopatologiczne oceniono jedynie u niewielkiej liczby pacjentów, co ogranicza możliwość wyciągania wniosków dotyczących długoterminowego wpływu leczenia na przebieg choroby;
- publikacja pełnotekstowa dostępna jedynie w postaci nieskorygowanego proofa.

5. MANCUSO I WSP. 2025 [24]

Abstrakt konferencyjny Mancuso i wsp. 2025 [24] zawiera dane zbieżne z referencją nr 41 [Mansuco i wsp. 2025] opisaną w analizie klinicznej, w związku z powyższym odstąpiono od opisanego jego wyników.

6. OPISY POJEDYNCZYCH PRZYPADKÓW

Tabela 10. Kluczowe wyniki i wnioski ze zidentyfikowanych opisów przypadków

Badanie	Kluczowe informacje o badaniu i wyniki	Wnioski
Alconcher i wsp. 2026 [25]	Opis przypadku 13-letniej dziewczynki, u której początkowo rozpoznano nefropatię IgA, jednak z powodu utrzymującej się aktywacji dopełniacza, niskich stężeń C3 i braku odpowiedzi na leczenie wykonano ponowną biopsję, która ostatecznie potwierdziła rozpoznanie C3 glomerulonephritis (C3GN). Celem publikacji było zaprezentowanie trudności diagnostycznych związanych z C3GN oraz ocena skuteczności leczenia inhibitorem C3, pegcetakoplanem, u pacjentki odpornej na standardową immunosupresję Wyniki Po 1 roku i 9 miesiącach nieskutecznego leczenia prednizonem, mykofenolanem i inhibitorami ACE wdrożono pegcetakoplan. Już po miesiącu leczenia białkomoczu zmniejszył się z 2747 mg/dobę (UPCR 2,66 mg/mg) do 590 mg/dobę (UPCR 0,75 mg/mg), a po 3 miesiącach uzyskano całkowitą remisję choroby z normalizacją białkomoczu (19 mg/dobę; UPCR 0,02 mg/mg), ustąpieniem krwinkomoczu, normalizacją markerów aktywacji dopełniacza (C5b-9: 92 ng/ml) oraz utrzymaniem prawidłowej funkcji nerek (eGFR 95,8 ml/min/1,73 m²). Dodatkowo możliwe było całkowite odstawienie prednizonu i mykofenolanu bez utraty odpowiedzi klinicznej.	Pegcetakoplan może być skuteczną terapią celowaną u pacjentów z C3GN opornym na konwencjonalne leczenie immunosupresyjne, prowadząc do szybkiej i głębokiej remisji klinicznej oraz normalizacji parametrów aktywacji dopełniacza
Langemeijer i wsp. 2026 [26]	5 przypadków pacjentów leczonych pegcetakoplanem w rutynowej praktyce klinicznej, obejmującą 2 pacjentów z napadową nocną hemoglobinurią (PNH) oraz 3 pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G), w tym z chorobą gęstych złogów (DDD). Celem pracy była ocena wpływu pegcetakoplanu na parametry laboratoryjne układu dopełniacza oraz identyfikacja zmian obserwowanych podczas leczenia; do niniejszej analizy kwalifikują się wyłącznie 3 pacjenci z C3G, natomiast chorzy z PNH nie są przedmiotem analizy Wyniki Do grupy C3G należały trzy osoby: 14-letnia dziewczynka z DDD, 35-letnia kobieta z DDD oraz 44-letni mężczyzna z DDD po dwóch przeszczepieniach nerki. Przed rozpoczęciem leczenia wszyscy pacjenci wykazywali cechy aktywacji alternatywnej drogi dopełniacza, w tym niskie stężenia C3 (180-355 mg/L) oraz podwyższone markery aktywacji dopełniacza. Po rozpoczęciu terapii pegcetakoplanem obserwowano szybki wzrost stężenia C3 do wartości przekraczających górną granicę normy (3358-4863 mg/L), istotne zmniejszenie markerów aktywacji dopełniacza (C3d, C3d/C3), zahamowanie aktywności alternatywnej drogi dopełniacza (AP <20% lub bliskie 0%) oraz utrzymanie skutecznej blokady układu dopełniacza. Autorzy opisali również zmniejszenie intensywności odkładania C3 w biopsji nerki u jednej z pacjentek, choć u chorej tej postępowała przewlekła niewydolność nerek, prowadząc ostatecznie do schyłkowej niewydolności nerek i odstawienia leku.	Pegcetakoplan zapewnia skuteczne i trwałe hamowanie aktywacji dopełniacza u pacjentów z C3G/DDD, powodując istotne zmiany biomarkerów choroby, jednak interpretacja niektórych parametrów laboratoryjnych, zwłaszcza stężenia C3, wymaga ostrożności ze względu na wpływ samego leczenia na ich wartości.
Ortiz i wsp. 2026 [27]	Opis trzech pacjentów pediatrycznych leczonych pegcetakoplanem reprezentujących różne fenotypy C3G/IC-MPGN: wielolekooporną C3G, rodzinną/genetyczną C3G oraz IC-MPGN przechodzące w C3G. Celem pracy była ocena skuteczności i bezpieczeństwa hamowania składowej C3 dopełniacza u dzieci z aktywną chorobą związaną z dysregulacją układu dopełniacza Do badania włączono:	Pegcetakoplan doprowadził do szybkiej kontroli aktywacji dopełniacza, istotnego zmniejszenia białkomoczu, remisji zespołu nerczycowego oraz normalizacji funkcji

Badanie	Kluczowe informacje o badaniu i wyniki	Wnioski
	1. pacjentkę z wielolekooporną C3G i zespołem nerczycowym, 2. pacjentkę z rodzinną/genetyczną C3G z patogennym wariantem genu C3, 3. pacjentkę z początkowym rozpoznaniem IC-MPGN, u której w kolejnej biopsji rozpoznanie zmieniono na C3G Spośród trzech opisanych przypadków jedynie pacjentka 3 spełniała kryterium wieku ≥ 12 lat w momencie rozpoczęcia leczenia pegcetakoplanem. Chorobę rozpoznano u niej w wieku 11 lat jako IC-MPGN, natomiast pegcetakoplan włączono po 24 miesiącach progresji choroby, gdy pacjentka miała około 13 lat Wyniki dla pacjentki spełniającej kryterium wieku Przed rozpoczęciem leczenia pacjentka prezentowała wielolekooporny zespół nerczycowy, nadciśnienie tętnicze, eGFR 74 ml/min/1,73 m², białkomocz 6,7 g/24 h, albuminę 2,1 g/dl oraz stężenie C3 wynoszące 75 mg/dl; wcześniej otrzymywała prednizon, MMF i takrolimus. W związku z utrzymującą się aktywnością choroby wykonano ponowną biopsję, która wykazała progresję zmian oraz dominujące złogi C3, prowadząc do zmiany rozpoznania z IC-MPGN na C3G. Po 4 tygodniach leczenia pegcetakoplanem stężenie C3 wzrosło z 75 do 296 mg/dl, a fragmenty aktywowanego C3 (C3dg) stały się niewykrywalne. Po 2 miesiącach znormalizowała się funkcja nerek, a po 3 miesiącach uzyskano białkomocz <200 mg/g; po 6 miesiącach leczenia utrzymywała się prawidłowa funkcja nerek, redukcja białkomoczu o 91%, normalizacja markerów aktywacji dopełniacza oraz remisja zespołu nerczycowego. Dodatkowo możliwe było odstawienie takrolimusu i znaczne ograniczenie dawki prednizonu.	nerek u nastoletniej pacjentki z C3G oporną na wcześniejsze leczenie immunosupresyjne
Al-Muhaiteeb i wsp. 2026 [28]-[29]	Opis przypadku dotyczący zastosowania pegcetakoplanu u pacjenta z opornym na leczenie pierwotnym immunokompleksowym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek (IC-MPGN). Pacjentem był 19-letni mężczyzna z zespołem nerczycowym, krwimoczem, znacznym białkomoczem, hipoalbuminemią oraz obniżonym stężeniem C3, u którego biopsja nerki potwierdziła rozpoznanie IC-MPGN. Pomimo wcześniejszego leczenia kortykosteroidami i takrolimusem utrzymywała się aktywność choroby, dlatego pod koniec grudnia 2024 r. wdrożono pegcetakoplan w dawce 1080 mg podskórnie dwa razy w tygodniu. <u>Skuteczność</u> Po około 8 miesiącach leczenia 24-godzinny białkomocz zmniejszył się z 7988 mg/dobę do 1386 mg/dobę (spadek o 83%), a wskaźnik UPCR obniżył się z 2502 mg/g do 751 mg/g. Stężenie albuminy wzrosło z 20 g/L do 36 g/L, co wskazywało na ustępowanie zespołu nerczycowego. Funkcja nerek pozostała stabilna, stężenie kreatyniny wynosiło około 100 μmol/L przed rozpoczęciem pegcetakoplanu, przejściowo wzrosło do 109 μmol/L, a następnie powróciło do około 89 μmol/L, bez oznak progresji choroby lub nefrotoksyczności. Dodatkowo ustąpiły obrzęki, unormowało się ciśnienie tętnicze i możliwe było odstawienie leków immunosupresyjnych oraz przeciwnadciśnieniowych. Stężenie C3, które przed rozpoczęciem terapii było znacznie obniżone i wynosiło 0,06 g/L, wzrosło do 0,88 g/L już w pierwszym miesiącu leczenia, a następnie do 1,27 g/L po 8 miesiącach, osiągając zakres prawidłowy. Autorzy uznali normalizację C3 za dowód skutecznego zahamowania patologicznej aktywacji dopełniacza, będącej kluczowym mechanizmem choroby <u>Bezpieczeństwo</u> W trakcie 8-miesięcznej obserwacji nie odnotowano żadnych działań niepożądanych związanych z pegcetakoplanem. Leczenie było dobrze tolerowane i nie obserwowano cech nefrotoksyczności ani innych powikłań wymagających przerwania terapii	Pegcetakoplan doprowadził do istotnej poprawy parametrów klinicznych i laboratoryjnych u 19-letniego pacjenta z opornym na leczenie pierwotnym IC-MPGN, przy korzystnym profilu bezpieczeństwa
Levart i wsp. 2025 [30]	Opis dwóch chłopców z glomerulopatią C3 (C3G) leczonych pegcetakoplanem poza badaniami klinicznymi w Uniwersyteckim Centrum Medycznym w Lublinie <u>Wyniki: Pacjent 1</u>	Pegcetakoplan wykazał wyraźną skuteczność przeciwbiałkomoczną oraz poprawę czynności nerek u obu pediatrycznych

Badanie	Kluczowe informacje o badaniu i wyniki	Wnioski
	Pacjent rozwinął C3G w wieku 8 lat i pomimo leczenia metyloprednizolonem, MMF oraz takrolimusem utrzymywał się przewlekły zespół nerczycowy z narastającym pogorszeniem funkcji nerek. Pegcetakoplan wdrożono w wieku 13 lat w ramach compassionate use. Przed leczeniem 24-godzinny białkomocz wynosił 6,16 g/dobę, a eGFR 52 ml/min/1,73 m². Po 6 miesiącach terapii zaobserwowano stopniową poprawę, z redukcją białkomoczu do 1,17 g/dobę oraz wzrostem eGFR do 71 ml/min/1,73 m². <u>Wyniki: Pacjent 2</u> Drugi pacjent, w wieku 16 lat, prezentował ciężki przebieg choroby z ostrym zespołem nefrytycznym, masywnym makrokrwimoczem i szybko postępującym kłębuszkowym zapaleniem nerek wymagającym dializoterapii. Otrzymał dawki metyloprednizolonu, następnie metyloprednizolon i MMF, a pegcetakoplan zastosowano off-label już w ostrej fazie choroby. Przed rozpoczęciem leczenia białkomocz wynosił 1,48 g/dobę, a eGFR jedynie 7 ml/min/1,73 m². Po 3,5 miesiąca terapii białkomocz zmniejszył się do 0,07 g/dobę, eGFR wzrósł do >90 ml/min/1,73 m², pacjent zakończył dializoterapię, a jedynym utrzymującym się objawem był mikroskopowy krwiomocz. <u>Bezpieczeństwo</u> U żadnego z dwóch pacjentów nie odnotowano działań niepożądanych związanych z leczeniem pegcetakoplanem ani problemów z tolerancją terapii.	pacjentów z C3G, przy jednoczesnym bardzo korzystnym profilu bezpieczeństwa.
Torres i wsp. 2025 [31]	To opis przypadku 16-letniej pacjentki z opornym na steroidy i mykofenolan mofetylu (MMF) błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek typu I (MPGN I), u której pomimo wcześniejszej immunosupresji utrzymywał się białkomocz nerczycowy. W ramach leczenia compassionate use od września 2024 r. zastosowano pegcetakoplan w dawce 1080 mg podskórnie dwa razy w tygodniu, a skuteczność oceniano po 6 miesiącach terapii. <u>Skuteczność</u> Po 6 miesiącach terapii pegcetakoplanem uzyskano istotną redukcję białkomoczu, z wartości nerczycowych do 1,5 g/dobę, co odpowiadało średniemu spadkowi o 75%. Wskaźnik białko/kreatynina w moczu (UPCR) wynosił 0,3. W trakcie leczenia funkcja nerek pozostała stabilna przy zachowanym eGFR, a stężenia składowych dopełniacza C3 i C4 utrzymywały się w zakresie normy. <u>Bezpieczeństwo</u> Nie odnotowano działań niepożądanych związanych z leczeniem.	Pegcetakoplan może stanowić obiecującą i dobrze tolerowaną opcję terapeutyczną u pacjentów z opornym na standardowe leczenie MPGN I, prowadząc do istotnego zmniejszenia białkomoczu przy zachowanej funkcji nerek.

Łącznie zidentyfikowane opisy przypadków sugerują, że pegcetakoplan może być skuteczną opcją terapeutyczną u pacjentów z C3G oraz pierwotnym IC-MPGN opornymi na standardowe leczenie immunosupresyjne. W większości opisanych przypadków obserwowano szybką i znaczącą redukcję białkomoczu, poprawę lub stabilizację funkcji nerek, normalizację parametrów aktywacji dopełniacza oraz możliwość ograniczenia lub odstawienia wcześniejszej immunosupresji.

Największe korzyści kliniczne obejmowały:

- redukcję białkomoczu, często przekraczającą 75-90%;
- remisję lub istotną poprawę zespołu nerczycowego;
- stabilizację albo poprawę eGFR;
- normalizację stężenia C3 i innych markerów aktywacji dopełniacza;
- zmniejszenie zapotrzebowania na inhibitory RAS, glikokortykosteroidy i inne leki immunosupresyjne.

Profil bezpieczeństwa pegcetakoplanu był korzystny. W opisanych przypadkach nie zgłaszano nowych sygnałów bezpieczeństwa, ciężkich powikłań związanych z leczeniem ani zakażeń bakteriami otoczkowymi, a terapia była na ogół dobrze tolerowana.

Interpretacja tych wyników wymaga jednak ostrożności, ponieważ dostępne dane pochodzą z pojedynczych opisów przypadków i małych serii chorych, bez grup kontrolnych i z relatywnie krótkim okresem obserwacji. Dlatego opisy przypadków należy traktować jako uzupełniające źródło dowodów, wspierające wyniki uzyskane w badaniach klinicznych.

Ograniczenia wspólne dla zidentyfikowanych opisów przypadków:

- wszystkie publikacje są opisami pojedynczych przypadków lub bardzo małych serii przypadków, bez grupy kontrolnej, co wiąże się z niską wiarygodnością dowodów;
- krótki okres obserwacji oraz równoczesne stosowanie innych terapii utrudniają ocenę długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa pegcetakoplanu;

Alconcher 2026 [25]:

- pojedynczy przypadek pacjentki z C3GN; zmieniony schemat dawkowania (po 1 miesiącu redukcja częstości podawania) ogranicza porównywalność z leczeniem zgodnym z ChPL;

Langemeijer 2026 [26]:

- niewielka liczba pacjentów, głównie z DDD; brak szczegółowych danych dotyczących skuteczności klinicznej, dawkowania i leczenia RAS;

Ortiz 2026 [27]:

- tylko 1 z 3 pacjentów spełniał kryterium wieku ≥ 12 lat;

Al-Muhaiteeb 2026 [28]-[29]:

- opis tylko jednego pacjenta z IC-MPGN; okres obserwacji wynosił około 8 miesięcy, bez danych długoterminowych;

Levart 2025 [30]:

- jedynie dwóch pacjentów z C3G; brak informacji o dawkowaniu oraz zastosowanie off-label u jednego chorego; dane pochodzą wyłącznie z abstraktu konferencyjnego;

Torres 2025 [31]:

- rozpoznanie MPGN I nie pozwala jednoznacznie potwierdzić C3G ani pierwotnego IC-MPGN; dane pochodzą wyłącznie z abstraktu konferencyjnego.

7. DANE Z ZAKRESU BEZPIECZEŃSTWA Z BAZY NETHERLANDS PHARMACOVIGILANCE CENTRE LAREB [32]

Do bazy *Netherlands Pharmacovigilance Centre Lareb* do 31 lipca 2026 roku nie zgłoszono bezpośrednio żadnego raportu o działaniach/zdarzeniach niepożądanych w czasie stosowania pegcetakoplanu.

Z kolei do bazy *VigiBase*, globalnej bazy danych Światowej Organizacji Zdrowia (ang. *World Health Organisation*, WHO) zgłoszono łącznie 1 597 raportów, z czego 473 raporty (30%) dotyczyły kobiet, 346 raportów (22%) mężczyzn, a w przypadku 778 (49%) nie określono płci. Raporty były najczęściej zgłaszane w nieznanej grupie wiekowej (67,4%). Największa liczba raportów pochodziła z Ameryki (1 073 raporty, 67%) i Europy (460 raportów, 29%) [32].

Zestawienie zgłoszonych działań/zdarzeń niepożądanych przedstawiono w poniższej tabeli; należy zaznaczyć, że nie wyodrębniono danych odnoszących się bezpośrednio do wnioskowanego wskazania.

Tabela 11. Zdarzenia niepożądane występujące podczas stosowania pegcetakoplanu zgłoszone do *Vigibase* (WHO) (stan na 31 lipca 2026 roku) [32].

Zdarzenia niepożądane	WHO liczba raportów
Liczba zgłoszonych przypadków	Łącznie: 1 597 (100%)
	Płeć męska: 346 (22%)
	Płeć żeńska: 473 (30%)
	Płeć nieznana: 778 (49%)
Układ oddechowy i klatka piersiowa	91
Krew i układ limfatyczny	228
Układ naczyniowy	61
Układ endokrynologiczny	2
Serce	30
Skóra i tkanka podskórna	136
Układ immunologiczny	32
Infekcje i zakażenia	297
Urazy i zatrucia	357
Wątroba i drogi żółciowe	29
Przewód pokarmowy	168
Nowotwory złośliwe	34
Nerki i drogi moczowe	134
Oko	479
Ucho i błędnik	16
Problemy z produktem	63
Psychiatryczne	67
Mięśniowo-szkieletowe i tkanki łącznej	91
Wyniki badań laboratoryjnych	312
Zaburzenia ogólne i stany w miejscu podania	569
Metabolizm i żywienie	42
Układ rozrodczy i piersi	13
Układ nerwowy	172
Ciąża i warunki okołoporodowe	5
Zaburzenia wrodzone i genetyczne	9
Okoliczności społeczne	15
Procedury chirurgiczne i medyczne	15

WHO - ang. *World Health Organization* - Światowa Organizacja Zdrowia.

Do najczęściej raportowanych kategorii działań niepożądanych w trakcie stosowania pegcetakoplanu zarówno do bazy WHO należały: zaburzenia ogólne i stany w miejscu podania, zaburzenia ze strony oka, urazy i zatrucia oraz infekcja i zakażenia.

8. CHARAKTERYSTYKI BADAŃ KLINICZNYCH WŁĄCZONYCH DO ANALIZY KLINICZNEJ (ANG. CRITICAL APPRAISAL) ORAZ CHARAKTERYSTYKI WYJŚCIOWE POPULACJI PACJENTÓW BIORĄCYCH UDZIAŁ W TYCH BADANIACH

Tabela 12. Charakterystyka badań pierwotnych dotyczących zastosowania pegcetakoplanu w leczeniu pacjentów z C3G lub IC-MPGN zidentyfikowanych po aktualizacji przeglądu baz w ramach analizy klinicznej.

Referencja	Typ badania	Populacja i schemat leczenia	Osoby, które nie ukończyły badania /osoby utracone z okresu leczenia i obserwacji	Najważniejsze oceniane punkty końcowe	Kryteria włączenia i wykluczenia z badania
Bassanese i wsp. 2026 [21]-[23]	Wieloośrodkowe, obserwacyjne badanie kohortowe typu „real-world” prawdopodobnie retrospektywne, typu IVC[^]. <u>Badanie opisane na podstawie publikacji pełnotekstowej, danych z abstraktów.</u> <u>Czas trwania badania:</u> Brak danych. <u>Sponsor:</u> brak dedykowanego finansowania; badanie było jednak wspierane przez CompCure Association (organizację pacjentów non-profit) oraz prowadzone w ramach European Reference Network for Rare Kidney Diseases (ERKNet). <u>Ocena w skali NICE:</u> 5 punktów.	Pacjenci z potwierdzoną biopsyjnie chorobą dotyczącą nerek własnych (native kidneys), N=25 pacjentów (18z C3G, 3 DDD, 4 z IC-MPGN) <u>Schemat leczenia</u> Pegcetakoplan stosowany poza badaniami klinicznymi (programy compassionate use lub off-label). Dawkowanie zgodne z ChPL (zazwyczaj 1080 mg 2x/tydzień; u dzieci dawki zależne od masy ciała) <u>Okres leczenia i obserwacji:</u> 26 Okres leczenia: mediana 13,3 miesiąca (5,3-27,1). Okres obserwacji: do 12 miesięcy po rozpoczęciu leczenia (punkty oceny: 1, 3, 6 i 12 miesięcy). Łączna ekspozycja: 222 pacjento-miesiące).	3 pacjentów przerwało terapię z powodu: braku odpowiedzi (n=1), braku przestrzegania zaleceń (n=1) lub osiągnięcia remisji i wczesnego przerwania leczenia (n=1). 10 pacjentów nie osiągnęło jeszcze 12-miesięcznego okresu obserwacji w momencie odcięcia zbierania danych.	- zmiana UPCR, eGFR oraz stężenia C3 w surowicy po 1, 3, 6 i 12 miesiącach; - odsetek pacjentów z remisją białkomoczu (całkowitą lub częściową); - ocena zmian w biopsjach powtórnych u wybranych pacjentów (n=4); - bezpieczeństwo i ogólna tolerancja leku	<u>Kryteria włączenia:</u> Biopsyjne potwierdzenie C3G lub IC-MPGN; choroba nerek własnych; leczenie pegcetakoplanem poza badaniami klinicznymi; wymagane szczepienie przeciwko bakteriom otoczkowym. <u>Kryteria wykluczenia:</u> Brak szczegółowych kryteriów wykluczenia innych niż brak zgody pacjenta lub opiekuna prawnego
Alconcher i wsp. 2026 [25]	Opis przypadku typu IVD [^]	13-letnia dziewczynka z C3GN (początkowo błędnie	Nie dotyczy.	- zmiana białkomoczu (UPCR);	Nie dotyczy.

Referencja	Typ badania	Populacja i schemat leczenia	Osoby, które nie ukończyły badania /osoby utracone z okresu leczenia i obserwacji	Najważniejsze oceniane punkty końcowe	Kryteria włączenia i wykluczenia z badania
	<u>Badanie opisane na podstawie publikacji pełnotekstowej.</u> <u>Czas trwania badania:</u> od 08.2023 do około 08.2025 r. <u>Sponsor:</u> nie podano/brak sponsora komercyjnego. <u>Ocena wiarygodności:</u> nie dotyczy	zdiagnozowana jako nefropatia IgA), oporna na standardowe leczenie immunosupresyjne. <u>Schemat leczenia:</u> - pegcetakoplan 1080 mg podskórnie dwa razy w tygodniu przez pierwszy miesiąc, następnie raz w tygodniu. <u>Okres obserwacji:</u> ok. 24 miesiące od rozpoznania; ≥3 miesiące po wdrożeniu pegcetakoplanu.		- normalizacja stężenia C3 oraz rozpuszczalnego kompleksu C5b-9; - ocena czynności nerek (eGFR, kreatynina); - wynik powtórnej biopsji nerki.	
Langemeijer i wsp. 2026 [26]	Opis przypadków typu IVD[^] <u>Badanie opisane na podstawie publikacji pełnotekstowej.</u> <u>Czas trwania badania:</u> brak danych. <u>Sponsor:</u> Brak danych. <u>Ocena wiarygodności:</u> nie dotyczy	Z 5 pacjentów leczonych, 3 miało z oporną na leczenie chorobą gęstych złogów (DDD – podtyp C3G) oraz 2 pacjentów z PNH. <u>Schemat leczenia:</u> - publikacja nie raportuje indywidualnych schematów dawkowania dla wszystkich pacjentów. Autorzy odnoszą się do standardowego dawkowania 1080 mg podskórnie dwa razy w tygodniu. <u>Okres obserwacji:</u> niejednorodny; maksymalnie około 12 miesięcy opisanych w publikacji.	W grupie PNH: 1 pacjent przerwał po 8 mies. (spadek eGFR), 1 zmienił lek po roku. W grupie DDD: 1 pacjent przerwał leczenie (powrót C3 do normy po 2 mies. od odstawienia).	- dynamika 36 białek układu dopełniacza (analiza proteomu). - Stężenie C3, properdyny oraz kompleksu konwertazy C3 (C3bBbP) w surowicy - wpływ leku na rutynowe testy diagnostyczne.	<u>Kryteria włączenia:</u> Pacjenci z chorobami zależnymi od dopełniacza (DDD, PNH) leczeni pegcetakoplanem po niepowodzeniu wcześniejszych linii terapii. <u>Kryteria wykluczenia:</u> Brak danych.
Ortiz i wsp. 2026 [27]	Opis przypadków typu IVD[^] <u>Badanie opisane na podstawie publikacji pełnotekstowej.</u>	3 dzieci z C3G/IC-MPGN, spośród których tylko 1 miało >12 lat w momencie rozpoczęcia terapii pegcetakoplanem. <u>Schemat leczenia:</u>	Żaden z trzech opisanych pacjentów nie przerwał leczenia pegcetakoplanem w okresie obserwacji	- białkomocz (proteinuria, PCR/UPCR) oraz procentowa redukcja białkomoczu po leczeniu;	Nie dotyczy.

Referencja	Typ badania	Populacja i schemat leczenia	Osoby, które nie ukończyły badania /osoby utracone z okresu leczenia i obserwacji	Najważniejsze oceniane punkty końcowe	Kryteria włączenia i wykluczenia z badania
	<u>Czas trwania badania:</u> 2020-2024 rok. <u>Sponsor:</u> nie podano. <u>Ocena wiarygodności:</u> nie dotyczy	Pegcetakoplan stosowano zgodnie ze schematem opartym na badaniu VALIANT. - pacjent 1 1080 mg 2 razy w tygodniu; - pacjent 2: dawka dostosowana do masy ciała, podawana 2 razy w tygodniu. Dokładnej liczby mg nie podano. - pacjent 3: 1080 mg 2 razy w tygodniu. <u>Okres obserwacji:</u> - od rozpoznania wynosił odpowiednio 40, 22 i 29 miesięcy dla poszczególnych pacjentów, - po rozpoczęciu pegcetakoplanu okres obserwacji wynosił odpowiednio 12, 12 i 6 miesięcy.		- remisja zespołu nerczycowego (całkowita lub częściowa); - funkcja nerek, oceniana za pomocą eGFR; - stężenie C3, jako marker kontroli aktywacji dopełniacza; - fragmenty aktywowanego C3 (C3dg), będące markerem aktywacji szlaku C3; - sC5b-9 (rozpuszczalny kompleks atakujący błonę), jako marker aktywacji końcowego szlaku dopełniacza; - krwinkomocz i inne objawy aktywności choroby; - możliwość redukcji lub odstawienia immunosupresji; - profil bezpieczeństwa.	
Al-Muhaiteeb i wsp. 2026 [28]-[29]	Opis przypadku typu IVD[^] <u>Badanie opisane na podstawie publikacji pełnotekstowej i abstraktu.</u> <u>Czas trwania badania:</u> od września 2024 r. do sierpnia 2025 r. <u>Sponsor:</u> wsparcie medical writing przez Sobi.	19-letni pacjent z pierwotnym IC-MPGN, opornym na leczenie immunosupresyjne. <u>Schemat leczenia:</u> Pegcetakoplan 1080 mg podskórnie (s.c.) dwa razy w tygodniu. <u>Okres obserwacji:</u> - od września 2024 r. do sierpnia 2025 r.; - okres leczenia– około 8 miesięcy.	Nie dotyczy.	- 24-godzinne wydalanie białka z moczem (proteinuria, mg/dobę). - stężenie białka w moczu; - Wskaźnik białko/kreatynina w moczu (UPCR). - krwinkomocz (hematuria); - parametry czynności nerek; stężenie kreatyniny w surowicy, eGFR; - parametry laboratoryjne zespołu nerczycowego;	Nie dotyczy.

Referencja	Typ badania	Populacja i schemat leczenia	Osoby, które nie ukończyły badania /osoby utracone z okresu leczenia i obserwacji	Najważniejsze oceniane punkty końcowe	Kryteria włączenia i wykluczenia z badania
	<u>Ocena wiarygodności:</u> nie dotyczy			- stężenie albuminy w surowicy; - ustępowanie obrzęków i poprawa stanu klinicznego; - stężenie C3, Stężenie C4; - profil bezpieczeństwa.	
Levart i wsp. 2025 [30]	Opis przypadków typu IVD[^] <u>Badanie opisane na podstawie abstraktu.</u> <u>Czas trwania badania:</u> brak danych. <u>Sponsor:</u> brak danych. <u>Ocena wiarygodności:</u> nie dotyczy	2 pacjentów z C3G. <u>Schemat leczenia:</u> pegcetakoplan był dostępny dla pierwszego pacjenta w ramach compassionate use, u drugiego chorego zastosowano go off-label, brak szczegółów dawkowania. <u>Okres obserwacji:</u> - pacjent 1: okres leczenia i obserwacji wynosił co najmniej 6 miesięcy; - pacjent 2: okres leczenia i obserwacji wynosił co najmniej 3,5 miesiąca.	Nie dotyczy.	- zmiana 24-godzinnego białkomoczu (24h proteinuria) od wartości wyjściowej (baseline przed pegcetakoplanem) do ostatniej obserwacji; - zmiana eGFR od wartości wyjściowej do ostatniej obserwacji; - mikrokrwimocz; - profil bezpieczeństwa.	Nie dotyczy.
Torres i wsp. 2025 [31]	Opis przypadków typu IVD[^] <u>Badanie opisane na podstawie abstraktu.</u> <u>Czas trwania badania:</u> od września 2024 roku <u>Sponsor:</u> brak danych. <u>Ocena wiarygodności:</u> nie dotyczy	Pacjentka z MPGN I (nieokreślone; brak możliwości jednoznacznej klasyfikacji do C3G lub IC-MPGN na podstawie dostępnego abstraktu) <u>Schemat leczenia:</u> Pegcetakoplan 1080 mg podskórnie dwa razy w tygodniu. <u>Okres obserwacji i leczenia:</u> - około 6 miesięcy.	Nie dotyczy.	- białkomocz (proteinuria, g/dobę), w szczególności zmiana dobowego wydalania białka z moczem po leczeniu. - wskaźnik UPCR; - funkcja nerek, oceniana za pomocą eGFR; - stężenia składowych dopełniacza C3 i C4; - profil bezpieczeństwa.	Nie dotyczy.

Tabela 13. Charakterystyka pacjentów w momencie rozpoznania oraz na początku leczenia pegcetakoplanem z badania Bassanese i wsp. 2026 [21]-[23] na podstawie danych z referencji [21].

Charakterystyka	Wartość
C3G (glomerulopatia C3), n (%)	18 (72%)
DDD (choroba gęstych złogów), n (%)	3 (12%)
IC-MPGN, n (%)	4 (16%)
Płeć żeńska, n (%)	13 (52%)
Pochodzenie etniczne, n (%)	
Kaukaskie	22 (88%)
Arabskie	2 (8%)
Afrykańskie	1 (4%)

Parametry w chwili rozpoznania i na początku leczenia pegcetakoplanem

Parametr	W chwili rozpoznania	Na początku leczenia pegcetakoplanem
Wiek (lata), średnia (SD)	11,7 [10,0–14,0]	14,9 [12,7–16,7]
Wiek <18 lat, n (%)	20/25 (80%)	20/25 (80%)
Obniżone stężenie C3 n (%)	22/25 (88%)	19/25 (76%)
Podwyższone sC5b-9, n (%)	12/12 (100%)	ND
Dodatni C3NeF, n (%)	6/14 (43%)	ND
eGFR (ml/min/1,73 m²), średnia (SD)	84 (32,7)	73,6 (42,7)
uPCR (g/g), średnia (SD)	4,2 [3,1–7,1]	3,5 [2,5–6,0]

Leczenie przed pegcetakoplanem i leczenie towarzyszące

Leczenie, n/N (%)	Przed rozpoczęciem pegcetakoplanu	W chwili rozpoczęcia pegcetakoplanu
Blokada układu RAA (RAS)	23/25 (92%)	22/25 (88%)
Dożylne pulsy metyloprednizolonu	16/22 (73%)	1/25 (4%)
Prednizon doustny	22/25 (88%)	7/25 (28%)
Mykofenolan mofetylu	23/25 (92%)	14/25 (56%)
Inhibitor kalcyneuryny	3/25 (12%)	1/25 (4%)
Ekulizumab	1/24 (4%)	0/24 (0%)
Rytuksymab	1/24 (4%)	0/24 (0%)

Tabela 14. Charakterystyka wyjściowa przypadków pacjentów z rozpatrywanej populacji włączonych do badań zidentyfikowanych po aktualizacji przeglądu baz.

Badanie	Pacjent	Płeć	Rozpoznanie	Wiek przy diagnozie	Wiek przy rozpoczęciu leczenia pegcetakoplanem	Wcześniejsze terapie	Wyniki przed pegcetakoplanem
Alconcher i wsp. 2026 [25]	1	K	C3GN	13 lat	~15 lat	Prednizon, ACEI, mykofenolan (MPA)	Białkomoczn 2747 mg/d; UPCR 2,66 mg/mg; C3 19 mg/dl; C5b-9 1162 ng/ml; kreatynina 0,74 mg/dl; eGFR 92
Langemeijer i wsp. 2026 [26]*	2	K	DDD (C3G)	14 lat	14 lat	Prednizon; MMF+prednizon; rytuksymab	C3 180 mg/L; C3d 36 mg/L; C3d/C3=200; AP 4%; CP 63%; C3bBbP 65 CAU/ml
	4	K	DDD (C3G)	NR	35 lat	MMF+prednizon+cyklofosfamid; MMF+prednizon; takrolimus+prednizon; inhibitor czynnika D + prednizon	C3 259 mg/L; C3d 28 mg/L; C3d/C3=109; AP 2%; CP 48%; C3bBbP 45 CAU/ml
	5	M	DDD (C3G) po 2 przeszczepach	NR	44 lata	1. przeszczep: MMF+takrolimus; 2. przeszczep: MMF+takrolimus+prednizon	C3 355 mg/L; C3d 10 mg/L; C3d/C3=29; AP 1%; CP 76%; C3bBbP 52 CAU/ml
Ortiz i wsp. 2026 [27]	1	K	C3G	7 lat	ok. 9 lat	Prednizon, kandesartan, MMF, takrolimus, eculizumab, ravulizumab	eGFR 70 ml/min/1,73 m ² ; białkomoczn 4 g/24 h; albumina 2,5 g/dl; C3 4 mg/dl; utrzymujący się zespół nerczycowy, nadciśnienie i aktywacja dopełniacza mimo wcześniejszego leczenia

Badanie	Pacjent	Płeć	Rozpoznanie	Wiek przy diagnozie	Wiek przy rozpoczęciu leczenia pegcetakoplanem	Wcześniejsze terapie	Wyniki przed pegcetakoplanem
	2	K	Rodzinna C3G	8 lat	ok. 9 lat	Kandesartan	eGFR 76 ml/min/1,73 m ² ; białkomocz 0,58 g/24 h; albumina 3,6 g/dl; C3 50 mg/dl; patogenny wariant genu C3 (p.Gln1161Lys); postępujące zużycie C3 i wzrost C3dg
	3	K	IC-MPGN przechodzące w C3G	11 lat	13 lat	Prednizon, MMF, takrolimus, losartan	eGFR 74 ml/min/1,73 m ² ; białkomocz 6,7 g/24 h; albumina 2,1 g/dl; C3 75 mg/dl; wielolekooporny zespół nerczycowy, progresja zmian w biopsji i transformacja IC-MPGN do C3G
Al-Muhaiteeb i wsp. 2026 [28]-[29]	1	M	Pierwotne immunokompleksowe błoniasto-rozplamowe kłębuszkowe zapalenie nerek (IC-MPGN) odporne na standardową immunosupresję	19 lat (rozpoznanie po biopsji nerki we wrześniu 2024 r.)	19 lat (pegcetakoplan rozpoczęto pod koniec grudnia 2024 r.)	Metyloprednizolon i.v. 125 mg/d przez 3 dni, następnie prednizolon p.o. 40 mg/d z późniejszą redukcją dawki; takrolimus początkowo 1 mg/d, zwiększony do 4 mg/d; leczenie wspomagające: telmisartan, furosemid, wapń i witamina D. Pomimo leczenia utrzymywał się białkomocz nerczycowy i krwimocz	Białkomocz 24 h: 4154 mg/d bezpośrednio przed rozpoczęciem pegcetakoplanu (wyściowo 7988 mg/d); UPCR: 2502 mg/g; albumina: 25 g/L; kreatynina: 100 μmol/L; C3: 0,06 g/L; utrzymujący się mikroskopowy krwimocz.
Levart i wsp. 2025 [30]	1	M	Glomerulopatia C3 (C3G) z przewlekłym zespołem nerczycowym	8 lat	13 lat	Metyloprednizolon, mykofenolan mofetylu (MMF), takrolimus. Po metyloprednizolonie uzyskano częściową remisję, której nie udało się utrzymać podczas dalszej immunosupresji	Utrzymujący się zespół nerczycowy i pogarszająca się funkcja nerek; 24-godzinny białkomocz 6,16 g/dobę; eGFR 52 ml/min/1,73 m ²
	2	M	Glomerulopatia C3 (C3G) z ostrym zespołem nefrytycznym i szybko postępującym kłębuszkowym zapaleniem nerek	Nie podano	16 lat	Dializoterapia, pulsy metyloprednizolonu, następnie metyloprednizolon i MMF; pegcetakoplan zastosowano dodatkowo off-label w ostrej fazie choroby	Ostry zespół nefrytyczny z masywnym makrokrwimoczem, szybko postępujące kłębuszkowe zapalenie nerek wymagające dializoterapii; 24-godzinny białkomocz 1,48 g/dobę; eGFR 7 ml/min/1,73 m ²
Torres i wsp. 2025 [31]	1	K	Błoniasto-rozplamowe kłębuszkowe zapalenie nerek typu I (MPGN I)	Okolo 11 lat (rozpoznanie w 2019 r.; pacjentka miała 16 lat w momencie rozpoczęcia	16 lat	Dożylnie pulsy metyloprednizolonu, następnie 6-miesięczna terapia doustnym prednizonem, mykofenolan mofetylu (MMF), leczenie wspomagające ACEI	Utrzymująca się aktywność choroby pomimo leczenia; druga biopsja potwierdziła przetrwałe MPGN I; białkomocz początkowo zmniejszył się z 2,65 g/dobę do 330 mg/dobę, następnie wzrósł do 2,8 g/dobę, a przed rozpoczęciem pegcetakoplanu osiągnął

Badanie	Pacjent	Płeć	Rozpoznanie	Wiek przy diagnozie	Wiek przy rozpoczęciu leczenia pegcetakoplanem	Wcześniejsze terapie	Wyniki przed pegcetakoplanem
				leczenia pegcetakoplanem w 2024 r.)			zakres nerczycowy około 6 g/dobę; stężenia C3 (148 mg/dL) i C4 (48 mg/dL) pozostawały prawidłowe; funkcja nerek była zachowana (prawidłowy eGFR).

ACEI, inhibitor konwertazy angiotensyny (angiotensin-converting enzyme inhibitor); AP, aktywność alternatywnej drogi aktywacji dopełniacza (alternative pathway); C3, składowa C3 układu dopełniacza; C3d, produkt rozpadu składowej C3, marker aktywacji dopełniacza; C3GN, C3 glomerulonephritis (kłębuszkowe zapalenie nerek związane z odkładaniem C3); C3G, glomerulopatia C3; C3bBbP, properdyna stabilizowany kompleks konwertazy C3 alternatywnej drogi dopełniacza; CP, aktywność klasycznej drogi aktywacji dopełniacza (classical pathway); DDD, dense deposit disease (choroba gęstych złogów); eGFR, szacowany współczynnik przesączania kłębuszkowego; IC-MPGN, immune complex membranoproliferative glomerulonephritis (pierwotne błoniasto-rozplamowe kłębuszkowe zapalenie nerek związane z kompleksami immunologicznymi); MMF, mykofenolan mofetylu; MPA, kwas mykofenolowy; NR, nie raportowano; PEG, pegcetacoplan; UPCR, wskaźnik białko/kreatynina w moczu; I.V. – podanie dożylnie; M- mężczyzna, K- kobieta.

*w tabelce pominięto dane dla pacjentów z nocną napadową hemoglobinurią, ponieważ nie jest to populacja rozpatrywana w analizie klinicznej.

9. OCENA BADAŃ JEDNORAMIENNYCH W SKALI NICE

Tabela 15. Ocena badań jednoramiennych zgodnie z kryteriami NICE.

Oceniane kryterium	Bassanese i wsp. 2026 [21]-[23]
Seria przypadków pacjentów pochodzących z więcej niż jednego ośrodka klinicznego (badanie wieloośrodkowe).	TAK (1 punkt)
Czy hipoteza/założenia/cel badania zostały jasno opisane?	TAK (1 punkt)
Czy kryteria włączenia/wykluczenia (definicja przypadku) zostały jasno opisane?	TAK (1 punkt)
Czy podano dokładną definicję ocenianych punktów końcowych?	TAK (1 punkt)
Czy dane zbierane były prospektywnie?	NIE (0 punktów)
Czy wyraźnie zdefiniowano, że pacjenci byli kolejno włączani do badania?	NIE (0 punktów)
Czy główne rezultaty/wyniki badania zostały jasno opisane?	TAK (1 punkt)
Czy analizowane punkty końcowe oceniane były w warstwach (grupach pacjentów wyodrębnionych ze względu np. na stadium zaawansowania choroby, nieprawidłowe wyniki badań, charakterystykę pacjentów)?	NIE (0 punktów)
Ocena maksymalna	5 punktów

10. BIBLIOGRAFIA

Referencje włączone:

Publikacje dodatkowe do badania VALIANT

- [1] Fakhouri F, Bomback AS, Ariceta G, Delmas Y, Dixon BP, Gale DP, Greenbaum LA, Han SH, Isbel N, Le Quintrec M, Licht C, Mastrangelo A, Mizuno M, Neves de Holanda MI, Pickering MC, Remuzzi G, Van De Kar N, Vivarelli M, Walker PD, Wallace D, Zecher D, Francois C, Deschatelets P, Li L, Wang Z, Abad-Franch L, Kinnman N, López-Lázaro L, Szamosi J, Nester CM; VALIANT Trial Investigators Group. Trial of Pegcetacoplan in C3 Glomerulopathy and Immune-Complex MPGN. *N Engl J Med*. 2025 Dec 4;393(22):2210-2220. **[w AKL uwzględniony draft]**
- [2] Vivarelli M, Ariceta G, Borovitz Y, Dixon BP, Greenbaum LA, Licht C, Mastrangelo A, Melhem N, Fujita N, van de Kar NCAJ, Wallace D, Khankin E, Wang Z, López-Lázaro L, Szamosi J, Nester CM. Pegcetacoplan for Adolescents with C3 Glomerulopathy or Primary Immune Complex Membranoproliferative GN: Phase 3 VALIANT Subgroup Analysis. *Clin J Am Soc Nephrol*. 2026 May 14. doi: 10.2215/CJN.0000001077
- [3] G Ariceta, A Mastrangelo, M Vivarelli i wsp. Pegcetacoplan for paediatric patients with C3 Glomerulopathy or Immune complex mediated Membranoproliferative Glomerulonephritis: phase 3 VALIANT Study. *Pediatric nephrology (Berlin, Germany)*, 2024, 39, S168-S169.
- [4] W Hayes, L Greenbaum, C Nester i wsp. Pegcetacoplan maintains proteinuria reduction and stable eGFR in pediatric patients over 52 weeks in the phase 3 VALIANT trial. *Swiss medical weekly*, 2025, 155, 8S-9S
- [5] DP Gale, AS Bomback, C Licht i wsp. Pegcetacoplan treatment appears to halt disease progression in C3G and primary (idiopathic) IC-MPGN patients: results from the phase 3 VALIANT study. *Nephrology dialysis transplantation*, 2025, 40, i673-i674
- [6] N Van De Kar, G Ariceta, Y Borovitz i wsp. PEGCETACOPLAN for PEDIATRIC PATIENTS with C3 GLOMERULOPATHY or PRIMARY IMMUNE COMPLEX MEDIATED MEMBRANOPROLIFERATIVE GLOMERULONEPHRITIS: 52 WEEKS RESULTS from PHASE 3, VALIANT STUDY. *Pediatric nephrology (Berlin, Germany)*, 2025, 40(1), S72-S73
- [7] N Kanzelmeyer, N van de Kar, G Ariceta i wsp. Pegcetacoplan for pediatric patients with C3 glomerulopathy or primary immune complex-mediated membranoproliferative glomerulonephritis: 52 weeks results from phase 3, VALIANT study. *Nieren- und hochdruckkrankheiten*, 2026, 55(2), 74
- [8] D Kavanagh, AS Bomback, G Ariceta i wsp. Pegcetacoplan demonstrates clinically significant responses in C3G and primary (idiopathic) IC-MPGN Patients with or without concomitant immunosuppression in VALIANT. *Nephrology dialysis transplantation*, 2025, 40, i45-i46
- [9] N Kanzelmeyer. Pegcetacoplan treatment halts disease progression and reduces nephrotic range proteinuria in pediatric patients with C3G and primary (idiopathic) IC-MPGN: results from the phase 3 VALIANT study. *Nieren- und hochdruckkrankheiten*, 2026, 55(2), 59
- [10] LA Greenbaum, CM Nester, G Ariceta i wsp. WCN26-9046 PEGCETACOPLAN FOR 52 WEEKS MAINTAINS PROTEINURIA REDUCTION AND EGFR STABILIZATION FOR PEDIATRIC PATIENTS: PHASE 3 VALIANT SUBGROUP ANALYSIS. *Kidney international reports*, 2026, 11(4)
- [11] C Licht, G Ariceta, Y Borovitz i wsp. PEGCETACOPLAN TREATMENT HALTS DISEASE PROGRESSION and REDUCES NEPHROTIC RANGE PROTEINURIA in PEDIATRIC PATIENTS with C3G and PRIMARY (IDIOPATHIC) ICMPGN: RESULTS from the PHASE 3 VALIANT STUDY. *Pediatric nephrology (Berlin, Germany)*, 2025, 40(1), S43-S44
- [12] MJ Oosterveld, J Kaufeld, D Zecher i wsp. Targeted treatment with pegcetacoplan for post-transplant recurrent C3G or primary (idiopathic) IC-MPGN in the VALIANT phase 3 trial. *Nephrology dialysis transplantation*, 2025, 40, i646-i647
- [13] A Mastrangelo, M Vivarelli, G Ariceta i wsp. Targeted treatment with pegcetacoplan for adolescents with C3G or primary (idiopathic) IC-MPGN in the VALIANT Phase 3 trial. *Nephrology dialysis transplantation*, 2025, 40, i41-i44.
- [14] M Vivarelli, AS Bomback, G Ariceta i wsp. Pegcetacoplan treatment effect in patients with nephrotic range proteinuria: results from the VALIANT Phase 3 study in patients with C3G or primary (idiopathic) IC-MPGN. *Nephrology dialysis transplantation*, 2025, 40, i23-i24
- [15] F Fakhouri, C Nester, A Bomback i wsp. Pegcetacoplan demonstrates sustained 52-week efficacy and safety across subgroups in C3G and primary IC-MPGN: results from the VALIANT trial. *Swiss medical weekly*, 2025, 155, 24S-25S

- [16] CM Nester, F Fakhouri. WCN26-6813 PEGCETACOPLAN FOR 52-WEEKS MAINTAINED PROTEINURIA REDUCTION REGARDLESS OF IMMUNOSUPPRESSANT USE OR NEPHROTIC RANGE PROTEINURIA AT BASELINE: VALIANT SUBGROUP ANALYSIS. *Kidney international reports*, 2026, 11(4)
- [17] SH Han, HG Kang, N Webb i wsp. WCN26-9116 EFFICACY OF PEGCETACOPLAN IN PATIENTS WITH LOWER BASELINE PROTEINURIA: a SUBGROUP ANALYSIS FROM THE VALIANT TRIAL. *Kidney international reports*, 2026, 11(4)
- [18] AS Bomback. PEGCETACOPLAN FOR POST-TRANSPLANT RECURRENT C3 GLOMERULOPATHY OR IDIOPATHIC IMMUNE COMPLEX-MEDIATED GLOMERULONEPHRITIS: THE VALIANT TRIAL. *American journal of kidney diseases*, 2025, 85(4), S142
- [19] M Vivarelli, G Ariceta, Y Borovitz i wsp. PEGCETACOPLAN FOR ADOLESCENTS WITH C3G OR IC-MPGN IN PHASE 3 VALIANT. *American journal of kidney diseases*, 2025, 85(4), S144-S145

Do badania Noble

- [20] AS Bomback, E Daina, G Remuzzi, J Kanellis, D Kavanagh, MC Pickering, G Sunder-Plassmann, PD Walker, Z Wang, F Fakhouri. Pegcetacoplan for adults with C3G or primary IC-MPGN who had a kidney transplant: plain language summary of the NOBLE trial. *Future rare diseases*, 2026, 6(1)

RWE

- [21] Bassanese G, Weingarten AM, Mancuso MC, Levart TK, Stewart DJ, Alanazi A, Espino-Hernández M, Hayes W, Dejong H, Vecchio GD, Geßner M, Van Deloet AE, Partigiani NB, Morelle J, Maritati F, Koster-Kamphuis L, Bertulli C, Pasini A, Trouet D, Torres DD, Schröder-Braunstein J; CompCure Consortium; Schaefer F, Vivarelli M. Real-world outcomes of pegcetacoplan treatment in C3 glomerulopathy and immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis. *Kidney Int.* 2026 Jun 15:S0085-2538(26)00433-3.
- [22] Bassanese G., Weingarten A., Mancuso M.C. i wsp. REAL-WORLD EVIDENCE for EFFICACY and SAFETY of IPTACOPAN and PEGCETACOPLAN in PATIENTS with PRIMARY MEMBRANOPROLIFERATIVE GLOMERULONEPHRITIS (MPGN). *Pediatric Nephrology* 2025 40:1 (S7-S8)
- [23] Bassanese G., Marasa M., Maritati F i wsp. Real-world evidence for efficacy and safety of iptacopan and pegcetacoplan in patients with primary membranoproliferative glomerulonephritis (MPGN). *Nephrology Dialysis Transplantation* 2025 40 (i621). https://academic.oup.com/ndt/article/40/Supplement_3/gfaf116.0316/8295057 (lipiec 2026)

RWE

- [24] Mancuso M.C., Mastrangelo A., Nittoli T i wsp. Efficacy of Pegcetacoplan in Children with C3 Glomerulopathy. *Pediatric Nephrology* 2024 39 (S221) <https://link.springer.com/article/10.1007/s00467-024-06472-9> (lipiec 2026)

Opisy przypadków:

- [25] Alconcher LF, Sánchez Lucero A, Dos Santos C, Toniolo MF. A pediatric case of C3 glomerulonephritis initially misclassified as IgA nephropathy with a favorable response to C3-targeted therapy. *Pediatr Nephrol.* 2026 Sep;41(9):2767-2773.
- [26] Langemeijer SMC, Langereis JD, Avest MT, Duineveld C, van de Logt AE, De Kat Angelino CM, van Deelen A, Michels MAHM, Gloerich J, Sprengeler EGG, van der Molen RG, van de Kar NCAJ, Jacobs JFM. Laboratory findings in patients treated with complement factor C3 inhibitor pegcetacoplan. *Clin Chem Lab Med.* 2026 Jan 5;64(6):1404-1412.
- [27] Román Ortiz E, Sáez Bello M, Reparaz Suevos A, Perez Ebri M, Aguilar Bacallado F, Llopis Salvia P, Climente Martí M, Rodríguez de Córdoba S. Pegcetacoplan in idiopathic and familial pediatric C3 glomerulopathy. *Pediatr Nephrol.* 2026 May;41(5):1351-1360.
- [28] Al-Muhaiteeb A, Al Yousef A, Altaieb A. Successful Treatment of Refractory Immune Complex-Mediated Membranoproliferative Glomerulonephritis with Pegcetacoplan: A Case Report. *Glomerular Dis.* 2026 Feb 27;6(1):84-93.

- [29] Al-Muhaiteeb A., Al Yousef A., Altaieb A. WCN26-5034 Successful Treatment of Refractory Immune Complex-Mediated Membranoproliferative Glomerulonephritis (IC-MPGN) with Pegcetacoplan: A Case Report. *Kidney International Reports* 2026 11:4 Article Number 105127
- [30] Levart T.K. SAFETY and EFFICACY of PEGCETACOPLAN in TWO PATIENTS with C3 GLOMERULOPATHY. *Pediatric Nephrology* 2025 40:1 (S196-S197)
- [31] Torres D.D., Maggi I., Carbone V i wsp. PEGCETACOPLAN for the TREATMENT of PEDIATRIC MPGN TIPE 1: A CASE REPORT. *Pediatric Nephrology* 2025 40:1 (S403).

Dodatkowa ocena bezpieczeństwa

- [32] LAREB <https://www.lareb.nl/databank-zoeken?formGroup=&atc=L04AJ03&lang=en&drug=ASPAVELI+%28PEGCETACOPLAN%29>

Wykluczone:

Edytoriał – nieodpowiednia forma publikacji; rodzaj pracy poglądowej

- [33] Owoyemi I, Moxey-Mims MM. A Beacon of Hope: Pegcetacoplan for Adolescents with C3 Glomerulopathy or Primary Immune Complex Membranoproliferative GN. *Clin J Am Soc Nephrol.* 2026 Jul 2. doi: 10.2215/CJN.0000001152.

Opracowanie wtórne bez PS

- [34] Mathew GG, Lakshmikanthan RR, Jenishbabu A, Pragatheeswaran S, Shamini A, Varadharajan J. Complement System Inhibitors in Nephrology: A Comprehensive Review. *G Ital Nefrol.* 2026 Jun 30;43(3):2026-vol3. doi: 10.69097/43-03-2026-08.
- [35] Macciò L, Russo E, Costigliolo F i wsp. New Anticomplement Drugs in Nephrology: Mechanism and Indication. *Kidney Blood Press Res.* 2026;51(1):365-377.
- [36] Kavanagh D, Ariceta G, Vivarelli M i wsp. Current and Emerging Therapies for C3 Glomerulopathy and Primary (Idiopathic) Immune Complex Membranoproliferative Glomerulonephritis. *Kidney Int Rep.* 2025 Nov 5;11(1):17-31

Brak wyników dla pegcetakoplanu

- [37] Norouzi S, Huang M, Rich C, Gordon K i wsp. '...completely exhausted and weak, really drained.': a multinational qualitative interview study of healthcare provider, patient, and caregiver experiences of C3 glomerulopathy and primary (idiopathic) immune complex membranoproliferative glomerulonephritis diagnosis, burden and management. *Front Nephrol.* 2026 May 22;6:1770706.

Przegląd narracyjny a nie systematyczny

- [38] Jauhal A, Barr B, Girard L, Laurin LP, Wong-Rieger D, Licht C. A Narrative Review of C3 Glomerulopathy: From Pathogenesis to Targeted Therapy. *Can J Kidney Health Dis.* 2026 May 5;13:20543581261442656.

Mieszane wskazania – brak wyodrębnienia danych dla pegcetakoplanu we wnioskowanym wskazaniu

- [39] de Castro C., Patel S., Snyder H i wsp. Low Risk for Meningococcal Infections with Systemically Administered Pegcetacoplan, a Complement C3 and C3b Inhibitor. *American Journal of Hematology* 2026 101 (42)
- [40] Brooks B., Gattamaraju R., Dalal R i wsp. Complement inhibitor use is not a significant predictor of cancer incidence: A real-world study of patients requiring chronic complement blockade. *Blood* 2025 146 (2698-2699)
- [41] De Castro C, Garcia VC, Hillmen P. Low risk for meningococcal and other encapsulated bacteria infections with systemically administered pegcetacoplan in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and C3 glomerulopathies. *Blood* 2025 146 (6719-6720)
- Wiek <12 lat w momencie rozpoczęcia terapii pegcetakoplanem
- [42] Busutti M, Giannini C, Diomedi Camassei F, Gargiulo A, Antonucci L, Guzzo I, Labbadia R, Cappoli A, Lucchetti L, Mele C, Emma F, Vivarelli M. Pegcetacoplan prophylaxis for recurrent C3 glomerulopathy with multifactorial genetic background. *Kidney Int.* 2026 Aug;110(2):487-489.
- [43] Alrasheed R, Alanazi A, Bukhari R, Albatati S, Faqeehi H, Alzabali S. Pegcetacoplan-induced remission in pediatric immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis with comorbid autosomal recessive polycystic kidney disease: a case report. *Front Med (Lausanne).* 2026 Mar 10;13:1668375.

- [44] Guzman G.L., Perry K.W. Pegcetacoplan for the Treatment of Paediatric C3 Glomerulonephritis: A Case Report. *Nephrology* 2025 30:2 Article Number e70001
- [45] Guzman G.L. Pegcetacoplan for the Treatment of Pediatric Complement 3 Glomerulonephritis: A Case Report. *Pediatric Nephrology* 2024 39 (S157-S158)
- Nieodpowiednia populacja - proliferative glomerulonephritis with monoclonal immunoglobulin deposits (PGNMID), a nie rozpoznanie C3G ani pierwotnego IC-MPGN
- [46] Dastoor H, Khater E, Al Salam S, Holt SG. Rescue Therapy With Pegcetacoplan in a Patient With Proliferative Glomerulonephritis With Monoclonal Immunoglobulin Deposits. *Kidney Int Rep.* 2026 Jan 8;11(3):103770.
- Tylko ocena farmakokinytyki populacyjnej – model z kilku badań, w tym z populacji pediatrycznej <12 roku życia
- [47] Keshavarz A., Kaufmann P., Smith B i wsp. PEGCETACOPLAN POPULATION PHARMACOKINETIC (POP PK) AND EXPOSURE-RESPONSE (E-R) IN PEDIATRIC AND ADULT PATIENTS WITH C3 GLOMERULOPATHY (C3G) AND PRIMARY IMMUNE-COMPLEX MEMBRANOPROLIFERATIVE GLOMERULONEPHRITIS (PIC-MPGN). *Clinical Pharmacology and Therapeutics* 2026 119 (S86-S87)