



Rekomendacja nr 137/2026

z dnia 11 września 2026 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego

Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach programu lekowego

„Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC-MPGN) (ICD-10: N03.5, N05.5)”

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach proponowanego programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC-MPGN) (ICD-10: N03.5, N05.5) **pod warunkiem** dalszego pogłębienia zaproponowanego RSS, zabezpieczenia maksymalnych wydatków płatnika w horyzoncie obowiązywania pierwszej decyzji refundacyjnej do wysokości wariantu minimalnego przedstawionej analizy, zabezpieczenia dostępności wnioskowanej technologii dla oszacowanej wielkości populacji, a także zwrotu 100% kwot refundacji produktu leczniczego Aspaveli w przypadku chorych, u których nie wykazano poprawy klinicznej rozumianej jako redukcja białkomoczu mierzonego wskaźnikiem UPCR $\geq 50\%$ przy równoczesnym spadku eGFR maksymalnie o 15% względem wartości początkowej po 26 tyg. od podania pierwszej dawki leku.

Uzasadnienie

Wnioskowane wskazanie obejmuje stosowanie pegcetakoplanu we wskazaniu: leczenie pacjentów w wieku ≥ 12 lat z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi (IC-MPGN), w skojarzeniu z inhibitorem układu renina-angiotensyna (RAS), chyba że leczenie inhibitorem RAS nie jest tolerowane lub jest przeciwwskazane; w ramach proponowanego, nowego programu lekowego.

W rekomendacji wzięto pod uwagę, że w analizowanej populacji występuje niezaspokojona potrzeba zdrowotna, choroby należą do rzadkich, a dostępne możliwości terapeutyczne po niepowodzeniu lub w przypadku przeciwwskazań do standardowego leczenia wspomagającego są ograniczone.

Zgodnie z aktualnymi wytycznymi klinicznymi w analizowanej populacji zaleca się stosowanie leków nefroprotektorycznych z grupy inhibitorów układu renina-angiotensyna (RAS), terapii immunosupresyjnych, glikokortykosteroidów lub udział w badaniu klinicznym. W wytycznych podkreśla się rolę inhibitorów dopełniacza C3 w modyfikacji przebiegu choroby, w tym możliwym zahamowaniu postępującej niewydolności nerek związanej z nagromadzeniem złogów w kłębuszkach nerkowych. Należy zwrócić uwagę, że analizowane dokumenty zostały opublikowane przed datę rejestracji ocenianej technologii przez EMA.

W analizie klinicznej uwzględniono dwa badania randomizowane, w których przedstawiono dane dotyczące skuteczności pegcetakoplanu w populacji z C3G oraz IC-MPGN. Wskazano na znaczące różnice na korzyść ocenianej interwencji w zakresie redukcji białkomoczu, utrzymania funkcji nerek mierzonej wskaźnikiem eGFR oraz innych markerów choroby, nie przedstawiono równocześnie wpływu ocenianej technologii na twarde punkty końcowe – przeżycie całkowite, przeżycie wolne od transplantacji, czas do dializoterapii itp., co ogranicza możliwość wnioskowania o skuteczności długoterminowej ocenianej technologii. Nie stwierdzono istotnych różnic w zakresie występowania zdarzeń niepożądanych, a w przypadku wybranych zdarzeń niepożądanych przedstawione wyniki są wątpliwe (liczniej raportowane wystąpienia bólu/obrzęku w miejscu infuzji/iniekcji w ramieniu placebo).

Zgodnie z przeprowadzoną analizą ekonomiczną wnioskowana interwencja jest droższa i skuteczniejsza od aktualnie stosowanych terapii. Ponadto, wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym

wskazują na znaczny wzrost wydatków płatnika publicznego związanych z refundacją produktu leczniczego Aspaveli (pegcetakoplan) o ok. [] PLN w pierwszym roku i ok. [] PLN w drugim roku refundacji. W przypadku analizy wpływu na budżet należy szczególnie podkreślić niepewność związaną z rzeczywistym kosztem terapii, realnym niedoszacowaniem liczebności populacji docelowej, a także na niedostateczną deklarację dostaw produktu, która nie zaspokaja potrzeb refundacyjnych dla minimalnego wariantu oszacowań.

Biorąc pod uwagę wnioski płynące z przeprowadzonych analiz, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, ograniczenia analizy klinicznej i ekonomicznej, znaczną niepewność dotyczącą wielkości populacji docelowej, niedostateczną deklarację dostaw wnioskowanego produktu, szacowane znaczne obciążenie budżetu płatnika publicznego oraz Stanowisko wydane przez Radę Przejrzystości, finansowanie ocenianej technologii we wnioskowanym wskazaniu uznaje się za zasadne wyłącznie po spełnieniu dodatkowych warunków opisanych jak w sentencji.

Przedmiot wniosku

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

- Aspaveli (pegcetakoplan), roztwór do infuzji, 54 mg/ml, 1 fiol., GTIN 07350031443950; cena zbytu netto: [] PLN;
- Aspaveli (pegcetakoplan), roztwór do infuzji, 54 mg/ml, 8 fiol., GTIN 07350031443967; cena zbytu netto: [] PLN.

Proponowana odpłatność i kategoria dostępności refundacyjnej: bezpłatnie w ramach programu lekowego, w istniejącej grupie limitowej (1286,0, Pegcetakoplan).

Problem zdrowotny

Glomerulopatia C3 (C3G) oraz pierwotne błoniasto-rozplamowe kłębuszkowe zapalenie nerek z kompleksami immunologicznymi (IC-MPGN) są postępującymi chorobami nerek związanymi z nieprawidłową aktywacją układu dopełniacza. W C3G dominują złogi składowej C3 dopełniacza w kłębuszkach nerkowych, natomiast w IC-MPGN oprócz złogów C3 obecne są również złogi immunoglobulin. Choroby te prowadzą do przewlekłego uszkodzenia nerek, objawiającego się m.in. białkomoczem, krwinkomoczem oraz stopniowym pogarszaniem funkcji nerek.

C3G i IC-MPGN należą do chorób ultrarazadkich. Szacuje się, że roczna zapadalność na C3G wynosi około 0,3-1 przypadku na milion mieszkańców, natomiast na IC-MPGN około 0,9-2 przypadków na milion mieszkańców. Chorobowość obu schorzeń jest niższa niż 5 przypadków na 10 000 osób, co spełnia kryteria choroby rzadkiej. Dane dotyczące Polski są ograniczone - eksperci kliniczni oceniają, że liczba chorych z C3G wynosi od kilkudziesięciu do około 100 osób, a z IC-MPGN około 40-60 osób.

Rokowanie jest niekorzystne. Choroby mają charakter przewlekły i postępujący, a znaczna część pacjentów rozwija schyłkową niewydolność nerek wymagającą dializoterapii lub przeszczepienia nerki. Szacuje się, że około 30-50% pacjentów osiąga schyłkową niewydolność nerek w ciągu 10 lat od rozpoznania, przy czym w przypadku C3G progresja może wystąpić u 30-50% dorosłych i nawet 70% dzieci. Nawroty choroby po przeszczepieniu nerki są częste.

Alternatywna technologia medyczna

Biorąc pod uwagę technologie aktualnie finansowane ze środków publicznych, jako komparator dla wnioskowanej terapii wskazano leczenie standardowe (SoC, ang. *standard of care*), obejmujące stosowanie inhibitorów RAS (RASi), glikokortykosteroidów (GKS), leków cytotoksycznych, inhibitorów SGLT2 (SGLT2i) i/lub refundowanych leków immunosupresyjnych (np. mykofenolan mofetylu).

Wybór komparatora uznano za właściwy.

Opis wnioskowanego świadczenia

Pegcetakoplan (PEG) jest symetryczną cząsteczką złożoną z dwóch identycznych pentadekapeptydów związanych kowalentnie z końcami liniowej cząsteczki glikolu polietylenowego o masie cząsteczkowej 40 kDa. Fragmenty peptydowe wiążą się ze składową białka dopełniacza C3 i jego fragmentem aktywowanym C3b i wywierają silne działanie hamujące na kaskadę dopełniacza. Fragment PEG o masie cząsteczkowej 40 kDa zwiększa rozpuszczalność i wydłuża czas obecności produktu leczniczego w organizmie po jego podaniu. Poprzez hamowanie C3 pegcetakoplan bezpośrednio przeciwdziała nieprawidłowej aktywacji C3 i modyfikuje chorobę podstawową poprzez zmniejszenie nadmiernego odkładania się produktów rozkładu C3 w kłębuszkach nerkowych. Poprzez ukierunkowanie na C3b

pegcetakoplan hamuje również aktywność konwertazy C3 szlaku alternatywnego (AP) poprzez dodatkowy mechanizm działania w kaskadzie dopełniacza. Zapobiega to dodatkowo odkładaniu się produktów rozkładu C3 w kłębuszkach nerkowych.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL), produkt Aspaveli jest wskazany m.in. w leczeniu pacjentów dorosłych i młodzieży w wieku od 12 do 17 lat z glomerulopatią C3 (ang. *C3 glomerulopathy*, C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi (ang. *immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis*, IC-MPGN) w skojarzeniu z inhibitorem układu renina-angiotensyna (ang. *renin-angiotensin system*, RAS), z wyjątkiem przypadków, w których leczenie inhibitorem RAS nie jest tolerowane lub jest przeciwwskazane. Powyższe wskazanie jest jednym ze wskazań rejestracyjnych leku (rejestracja w ocenianym wskazaniu – 15.01.2026 r.).

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Uwzględniono dwa badania kliniczne: 1) randomizowane, wieloośrodkowe, podwójnie zaślepiene badanie fazy III VALIANT (wraz z fazą przedłużoną), w którym oceniono stosowanie pegcetakoplanu (PEG) skojarzonego z opieką standardową (SoC) względem placebo (PLC) skojarzonego z SoC, w populacji pacjentów w wieku od 12 lat, z aktywnym C3G lub pierwotnym IC-MPGN, bez lub po przeszczepieniu nerki; 2) randomizowane; wieloośrodkowe, otwarte badanie eksploracyjne fazy II NOBLE (wraz z fazą przedłużoną), w którym oceniono stosowanie PEG skojarzonego z SoC względem SoC, w populacji pacjentów w wieku od 18 lat, z aktywnym C3G lub pierwotnym IC-MPGN, po przeszczepieniu nerki.

Do analizy klinicznej włączono ponadto badanie rzeczywistej praktyki klinicznej (Bassanese 2026), a także 12 badań o niższej wiarygodności, w tym opisy przypadków.

Nie zidentyfikowano przeglądów systematycznych lub metaanaliz odpowiadających problemowi decyzyjnemu.

Szczegółowe opisy i wyniki włączonych do AKL badań przedstawiono w Analizie Weryfikacyjnej Agencji (AWA) i dokumentacji Wnioskodawcy.

Skuteczność

Zgodnie z wynikami badania VALIANT (N=124) w porównaniach PEG+SoC vs PLC+SoC stwierdzono (RW – redukcja względna, RR – ryzyko względne, MD – różnica średnich, LSMD – różnica średnich mierzona metodą najmniejszych kwadratów) istotnie statystycznie (IS) różnice na korzyść PEG w zakresie:

- zmiany wskaźnika białko/kreatynina w moczu (UPCR) po 26 tyg. (pierwszorzędowy PK): RW=68,1% (95%CI: 57,3%; 76,2%) względem wartości wyjściowych, MD=-1,143 (95%CI:-1,436; -0,85) g/g;
- złożonego nerkowego punktu końcowego (redukcja UPCR $\geq 50\%$ oraz stabilizacja eGFR [$\leq 15\%$ redukcji]) po 26 tyg.: RR=14,4 (95%CI: 3,7; 56,9);
- osiągnięcia $\geq 50\%$ redukcji UPCR po 26 tyg.: RR=12,0 (95%CI: 4,0; 36,1);
- zmiany eGFR po 26 tyg.: LSMD=6,3 ml/min/1,73m² (95%CI: 0,5; 12,1);
- redukcji odkładania składowej C3c dopełniacza w kłębuszkach nerkowych o ≥ 2 rzędy wielkości: RR=6,2 (95%CI: 2,4; 15,9).

Nie wykazano IS różnic w zakresie jakości życia uwarunkowanej stanem zdrowia, mierzonej kwestionariuszami FACIT-F oraz KDQoL.

Zgodnie z wynikami eksploracyjnego badania NOBLE (N=13) w porównaniu PEG+SoC vs SoC stwierdzono:

- redukcję barwienia C3c w biopsji przeszczepionej nerki:
 - po 12 tyg. o ≥ 1 rząd wielkości u 8 z 10 chorych i o ≥ 2 rzędy wielkości u 5 z 10 pacjentów względem 1 z 3 chorych w ramieniu SoC;
 - po 52 tyg. stwierdzono utrzymanie redukcji barwienia w populacji stosującej PEG+SoC, natomiast po zmianie leczenia z SoC na PEG+SoC u 2 z 3 pacjentów także wystąpiła redukcja barwienia C3c o ≥ 2 rzędy wielkości;
- utrzymanie wartości eGFR (spadek o mniej niż 25% względem wartości wyjściowej) po 52 tyg. u 7 z 10 chorych stosujących PEG+SoC oraz u 2 z 3 chorych, którzy zmienili leczenie z SoC na PEG+SoC po 12 tyg.

- redukcję mediany wskaźnika UPCR po 12 tyg. o 54% w ramieniu PEG+SoC vs 1,3% w ramieniu SoC. W badaniu nie oceniano jakości życia związanej ze zdrowiem.

Bezpieczeństwo

W badaniu VALIANT w okresie obserwacji 26 tyg. nie stwierdzono IS różnic w częstości występowania zdarzeń niepożądanych podczas leczenia (TEAEs), zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (TRAEs), ciężkich TEAEs. Nie stwierdzono zgonów z powodu zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem. W okresie fazy przedłużonej zgłoszono 4 przypadki zakażeń wywołanych przez bakterie otoczkowe, w tym jeden przypadek pneumokokowego zapalenia płuc. Do najczęściej raportowanych zdarzeń niepożądanych w ramieniu PEG+SoC należały – gorączka (19%), zapalenie jamy nosowej i gardła (18%), ból głowy (13%), nudności (10%), kaszel (10%), grypa (10%).

W badaniu NOBLE zdarzenia TRAEs stwierdzono u 3 z 10 pacjentów leczonych PEG+SoC, w tym neutropenię, biegunkę, wysypkę i obrzęk w miejscu podania, grypę i ostre uszkodzenie nerek.

Zgodnie z ChPL najczęstszymi zgłaszanymi działaniami niepożądanymi u pacjentów z C3G lub pierwotnym IC-MPGN leczonych pegcetakoplanem są reakcje w miejscu infuzji (33%) i infekcje górnych dróg oddechowych (33%). Najcięższymi działaniami niepożądanymi są ostre uszkodzenie nerek (13%) i zapalenie płuc (9%).

Dane rzeczywistej praktyki klinicznej

Wyniki badania RWE Bassanese 2026 (N=25), przeprowadzone głównie w populacji młodzieży i młodych dorosłych opornych na wcześniejsze leczenie immunosupresyjne, wskazują na porównywalną skuteczność terapii względem obserwacji z badania VALIANT: stwierdzono redukcję białkomoczu średnio o 71% względem wartości początkowych (w tym remisję u 3 chorych), poprawę eGFR o 12 ml/min/1,73m² po 6 mies. i stabilizację eGFR po 12 mies. Podczas 222 paciento-miesięcy ekspozycji stwierdzono dwa zdarzenia niepożądane potencjalnie związane z leczeniem (zapalenie płuc i róża skóry). Nie stwierdzono zakażeń wywołanych przez bakterie otoczkowe ani ciężkich TRAEs.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest fakt, iż badanie VALIANT nie dostarcza informacji o wpływie terapii na twarde punkty końcowe, np. przeżycie całkowite, przeżycie wolne od transplantacji. Dane o skuteczności porównawczej dla surogatowych punktów końcowych, dostępne są dla krótkiego okresu obserwacji (26 tyg.), po którym nastąpiła zmiana leczenia na PEG+SoC. Podobne ograniczenia związane są z badaniem NOBLE, a dodatkowo niewielka próba i krótki okres analizy porównawczej ograniczają możliwość wnioskowania o skuteczności długoterminowej. Dodatkowym ograniczeniem jest brak zaślepienia danych w obserwacji długoterminowej oraz analiza *post-hoc*, co ogranicza wiarygodność formułowania jednoznacznych wniosków przyczynowo-skutkowych. Dowody z rzeczywistej praktyki klinicznej pochodzą z niewielkich prób przeprowadzonych w heterogenicznych populacjach.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w Analizie Weryfikacyjnej.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka (RSS).

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

W ramach oceny opłacalności przeprowadzono analizę kosztów-użyteczności (CUA). Poniżej przedstawiono wyniki z perspektywy płatnika publicznego (NFZ). Przyjęto dożywotni horyzont czasowy analizy.

Oszacowany przez wnioskodawcę inkrementalny współczynnik kosztów-użyteczności (ICUR) wyniósł [] PLN/QALY w wariancie z RSS oraz 3 711 391 PLN/QALY w wariancie bez RSS. Oszacowane wartości znajdują się powyżej obowiązującego progu opłacalności (244 821 PLN/QALY).

Dla przedstawionych współczynników ICUR progowa cena zbytu netto wynosi [] PLN/opak. 1 fiołka oraz [] PLN/opak. 8 fiolek. Oszacowane progowe CZN są niższe od cen proponowanych.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami analizy ekonomicznej są: ekstrapolacja długoterminowa na podstawie krótkiego okresu obserwacji, przyjęte założenia o skuteczności terapii (w tym wpływie na twarde punkty końcowe), bezpieczeństwie, kosztach i trwałości efektów klinicznych, a także niepewność dotycząca parametryzacji modelu, w tym założenia związane z efektem uniknięcia dializoterapii i transplantacji nerki, określone na podstawie zróżnicowanych zagranicznych źródeł.

Szczególną uwagę zwraca się na wariant analizy wrażliwości, w którym nie uwzględniono dodatkowego efektu klinicznego związanego z „zaoszczędzoną nerką” (DSA 68), w którym współczynnik ICUR jest [] względem wariantu podstawowego ([] PLN/QALY w wariancie z RSS), co wskazuje na wysoką niepewność związaną z powyższym założeniem.

Obliczenia własne Agencji

Analitycy Agencji przeprowadzili dodatkowe obliczenia z zastosowaniem zaktualizowanych danych kosztowych oraz zmodyfikowali część parametrów farmakoekonomicznych. Wnioskowanie o efektywności kosztowej nie uległo zmianie, ICUR w wariancie z RSS [] względem wartości przedstawionej przez wnioskodawcę.

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

W ocenie Agencji nie zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

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

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w dwuletnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [] (min. []; maks. []) pacjentów w I roku oraz [] (min. []; maks. []) pacjentów w II roku refundacji.

Wyniki analizy wskazują, że objęcie refundacją leku Aspaveli (pegcetakoplan) spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego o:

- bez uwzględnienia RSS:
 - ok. 73,6 mln PLN w I roku refundacji;
 - ok. 263,6 mln PLN w II roku refundacji;
- z uwzględnieniem RSS:
 - ok. [] PLN (min. [] PLN; maks. [] PLN) w I roku refundacji;
 - ok. [] PLN (min. [] PLN; maks. [] PLN) w II roku refundacji;

Składowa kosztu, stanowiąca kwotę refundacji produktu leczniczego Aspaveli (pegcetakoplan), w wariancie z RSS wynosi [] PLN w I roku oraz [] PLN w II roku analizy (łącznie ok. [] PLN).

Ograniczenia

W analizie podstawowej wielkość populacji określono na podstawie opinii ekspertów klinicznych, a tempo penetracji rynku na podstawie arbitralnych założeń. Oszacowania analizy wpływu na budżet przeprowadzono na podstawie założeń analizy ekonomicznej, stąd wszelkie ograniczenia analizy opłacalności mają przełożenie na oszacowania BIA.

Stwierdzono znaczne wahania oszacowań w zależności od przyjętych założeń o wielkości populacji docelowej, co stanowi główną wątpliwość dotyczącą przeprowadzonej analizy wpływu na budżet.

Deklarowana wielkość dostaw produktu leczniczego nie zaspokaja zapotrzebowania w wariancie minimalnym

Wymogiem pozytywnej decyzji refundacyjnej powinno być zaspokojenie dostępności leku na rynku w wielkości co najmniej określonej dla wariantu minimalnego, a optymalnie – dla wariantu maksymalnego określonego w analizie wpływu na budżet.

Obliczenia własne Agencji

Nie dotyczy.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Uwagi do programu lekowego

Sugeruje się rozważenie uwag zawartych w AWA.

Należy także zwrócić uwagę na proponowany zapis dotyczący umożliwienia przerywania terapii w przypadku jej skuteczności (Monitorowanie leczenia oraz ocena skuteczności leczenia, punkt 2.2.), który nie jest zgodny z opisem produktu w ChPL, tj.: *C3G i pierwotne IC-MPGN są chorobami przewlekłymi. Nie zaleca się przerywania stosowania tego produktu leczniczego, chyba że istnieją wskazania kliniczne do przerywania*. Projekt głównego badania (VALIANT) również nie przewidywał przerywania leczenia ze względu na skuteczność terapii.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Uwzględniono cztery dokumenty wytycznych klinicznych odnoszących się do wnioskowanego wskazania – KDIGO 2021, ISN 2023 (międzynarodowe), Noris 2024 (włoskie) oraz Vivarelli 2022. W odnalezionych dokumentach nie odniesiono się wprost do pegcetakoplanu, prawdopodobnie ze względu na niedawną rejestrację w analizowanym wskazaniu.

Zgodnie z odnalezionymi rekomendacjami, w przypadku pacjentów z C3G należy zapewnić optymalną kontrolę ciśnienia tętniczego z zastosowaniem inhibitorów RAS, kontrolę gospodarki lipidowej, leczenie immunosupresyjne w przypadku umiarkowanego lub ciężkiego nasilenia choroby określonej na podstawie białkomoczu lub zmian proliferacyjnych w biopsji. U pacjentów z nieskutecznością ww. terapii zaleca się udział pacjenta w badaniach klinicznych, w tym związanych z układem dopełniacza. W przypadku IC-MPGN zaleca się zindywidualizowane podejście na podstawie przyczyny choroby odpowiedzialnej za zmiany histopatologiczne – w przypadku chorych z idiopatycznym IC-MPGN zaleca się stosowanie inhibitorów RAS, a w przypadku postaci ciężkich – do leczenia należy dołączyć GKS oraz leki immunosupresyjne.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono cztery rekomendacje odnoszące się do finansowania ocenianej technologii: CDA-AMC 2025 (pozytywna warunkowo) CIMP 2026 (pozytywna warunkowo), NICE 2026 (negatywna) oraz Medicinrådet 2026 (negatywna).

W rekomendacjach pozytywnych wskazuje się na rzadkość i ciężkość choroby oraz potencjalną wartość terapeutyczną leku, równocześnie zwracając uwagę na wysokie koszty, co wymaga ścisłego monitorowania, w tym częstszej oceny zasadności kontynuacji refundacji. W dokumencie NICE (draft rekomendacji negatywnej) wskazuje się na istotne ograniczenia modelu farmakoekonomicznego oraz wysoki współczynnik kosztu do efektu, znacznie przekraczający próg opłacalności dla systemu brytyjskiego. Poddano również w wątpliwość implementację korzyści z zaoszczędzenia nerki i przeszczepienia jej innemu pacjentowi. Podobne stanowisko zajęła duńska Medicinrådet, wskazując na wysokie koszty ocenianej technologii i niepewność długoterminowych efektów.

Odnaleziono również oceny G-Ba 2026, w których wskazano na prawdopodobną dodatkową korzyść kliniczną stosowania pegcetakoplanu w obu populacjach, o wielkości niemożliwej do oszacowania – ze względu na jakość dostarczonych dowodów naukowych.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Aspaveli (pegcetakoplan) jest finansowany w 5 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 30 czerwca 2026 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.285.2026.16.ZLE i PLR.4500.286.2026.14.ZLE), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu Aspaveli (pegcetakoplan) we wskazaniu: leczenie pacjentów w wieku ≥ 12 lat z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi (IC-MPGN), w skojarzeniu z inhibitorem układu renina-angiotensyna (RAS), chyba że leczenie inhibitorem RAS nie jest tolerowane lub jest przeciwwskazane, w ramach nowego programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC-MPGN) (ICD-10: N03.5, N05.5).” na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2026 r. poz. 253, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 131/2026 z dnia 7 września 2026 r.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 131/2026 z dnia 7 września 2026 r. w sprawie oceny leku Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC MPGN) (ICD-10: N03.5, N05.5)”
2. Wniosek o objęcie refundacją leku Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach nowego programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją (ICD-10: N03.5, N05.5)”. Analiza weryfikacyjna OTAP.4131.8.2026. Data ukończenia: 26 sierpnia 2026 r.