



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 131/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Aspaveli (pegcetacoplanum) 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)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Aspaveli (pegcetacoplanum), roztwór do infuzji, 54 mg/ml, 1 fiol., GTIN: 07350031443950,*
- *Aspaveli (pegcetacoplanum), roztwór do infuzji, 54 mg/ml, 8 fiol., GTIN: 07350031443967,*

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)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności objęcia refundacją produktu leczniczego Aspaveli (pegcetacoplanum) 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). Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Produkt Aspaveli został dopuszczony do obrotu przez EMA dnia 13.12.2021 r, natomiast wnioskowane wskazanie zostało zatwierdzone dnia 15.01.2026 r. Produkt Aspaveli uzyskał status leku sierocznego.

Substancją czynną produktu leczniczego Aspaveli jest pegcetakoplan, który jest inhibitorem dopełniacza C3. Podawany jest 2 razy w tygodniu w postaci infuzji

podskórnej za pomocą strzykawkowej pompy infuzyjnej lub umieszczonego na ciele systemu do podawania leku.

Glomerulopatia C3 (C3G) oraz pierwotne błoniasto-rozplamowe kłębuszkowe zapalenie nerek z kompleksami immunologicznymi (IC-MPGN) są ultraradkimi, postępującymi chorobami nerek związanymi z nieprawidłową aktywacją układu dopełniacza. Obraz kliniczny obejmuje białkomocz, krwinkomocz i stopniowe pogarszanie funkcji nerek. Choroby mogą prowadzić do schyłkowej niewydolności nerek, dializoterapii lub przeszczepienia; nawroty po transplantacji są częste. Eksperci kliniczni oceniają, że liczba chorych z C3G wynosi od kilkudziesięciu do ok. 100 osób, a z IC-MPGN ok. 40-60 osób. Standard leczenia obejmuje terapię nefroprotekcyjną (w tym inhibitory układu renina-angiotensyna-aldosteron), immunosupresję oraz nowe terapie ukierunkowane na hamowanie układu dopełniacza.

Za komparatory dla wnioskowanej technologii uznano leczenie standardowe/leczenie wspomagające (SoC/BSC), co odzwierciedla aktualną praktykę kliniczną i refundacyjną w Polsce.

Produkt Aspaveli był już oceniany przez AOTMiT. Rada Przejrzystości w stanowisku nr 38/2023 z 3 kwietnia 2023 r. uznała za zasadne objęcie refundacją leku Aspaveli w ramach programu lekowego B.96 dotyczącego leczenia nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH); produkt ten jest obecnie refundowany w powyższym programie.

Dowody naukowe

Ocena skuteczności klinicznej pegcetakoplanu (PEG) opiera się przede wszystkim na wynikach badania III fazy, RCT VALIANT (N=124), obejmującego pacjentów z C3G lub pierwotnym IC-MPGN w wieku ≥ 12 lat. W badaniu wykazano istotną statystycznie przewagę PEG + SoC nad placebo (PLC) + SoC w zakresie pierwszorzędnego punktu końcowego, tj. redukcji białkomoczu mierzonego wskaźnikiem UPCR po 26 tyg. leczenia (różnica względna 68,1% [95%CI: 57,3; 76,2] $p < 0,001$). Odnotowano średni spadek białkomoczu ok. 67% w grupie PEG + SoC vs 3% w grupie PLC + SoC. Korzyści obserwowano również dla kluczowych drugorzędowych punktów końcowych, w tym złożonego punktu końcowego nerkowego (49% vs 3%; RR=14,4 [95%CI: 3,7; 56,9] $p < 0,001$) oraz odsetka pacjentów osiągających $\geq 50\%$ redukcję UPCR (60% vs 5%; RR=12,0 [95%CI: 4; 36,1] $p < 0,001$). W obserwacji 52-tygodniowej utrzymywała się redukcja białkomoczu oraz względna stabilizacja funkcji nerek, jednak faza przedłużona miała charakter otwarty.

Uzupełniających danych dostarczyło RCT NOBLE (N=13) w populacji pacjentów z nawrotem choroby po przeszczepieniu nerki. Zaobserwowano korzystny wpływ PEG na parametry aktywności choroby, w tym redukcję odkładania złogów C3c w biopsji nerki oraz zmniejszenie białkomoczu, jednak ze względu na małą

liczebność populacji, krótki okres randomizowanej obserwacji (12 tyg.) oraz jej eksploracyjny charakter wyniki należy interpretować ostrożnie.

Dowodów z rzeczywistej praktyki klinicznej dostarczyło badanie obserwacyjne Bassanese 2026 (N=25); jego wyniki potwierdziły obserwacje z ww. badań randomizowanych.

Ocena bezpieczeństwa PEG opierała się głównie na wynikach RCT VALIANT oraz uzupełniając RCT NOBLE. Wyniki tych badań wskazują, że stosowanie PEG + SoC wiąże się z akceptowalnym profilem bezpieczeństwa, bez wyraźnego zwiększenia ryzyka zdarzeń niepożądanych względem standardowego postępowania.

Ograniczenia analizy wynikają przede wszystkim z ultraradkiego charakteru C3G i pierwotnego IC-MPGN, co przełożyło się na niewielką liczebność populacji w dostępnych badaniach. Nie odnaleziono przeglądów systematycznych ani metaanaliz, zatem wnioskowanie oparto na badaniach pierwotnych. Nadal brakuje długoterminowych badań kontrolowanych pozwalających ocenić wpływ leczenia na twarde punkty końcowe, takie jak schyłkowa niewydolność nerek, konieczność dializoterapii, utrata przeszczepu czy śmiertelność.

Wytyczne kliniczne

Aktualne wytyczne międzynarodowe (KDIGO 2021 & ISN 2023) wskazują, że podstawą leczenia pacjentów z C3G i pierwotnym IC-MPGN pozostaje leczenie nefroprotekcyjne obejmujące inhibitory układu renina-angiotensyna-aldosteron oraz postępowanie spowalniające progresję przewlekłej choroby nerek. Nowe zalecenia eksperckie coraz szerzej uwzględniają inhibitory dopełniacza jako terapie ukierunkowane na patomechanizm choroby (Noris 2024, Vivarelli 2022).

Problem ekonomiczny

Na podstawie przeprowadzonej analizy ekonomicznej stwierdzono, że wartość ICUR w wariancie bez zastosowanego RSS wyniosła ok. 3,71 mln PLN/QALY, a w wariancie z RSS – [REDACTED]. Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że finansowanie wnioskowanej technologii ze środków publicznych w ramach załączonego projektu programu lekowego będzie generować [REDACTED]

[REDACTED] w wariancie z RSS. W wariancie bez RSS wzrost wydatków oszacowano na 73,6 mln PLN w I roku oraz 263,6 mln PLN w II roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono sześć zagranicznych rekomendacji refundacyjnych dotyczących PEG we wnioskowanym wskazaniu: dwie warunkowo pozytywne (CDA-AMC 2026, CIPM 2026), dwie negatywne (wstępna-NICE 2026 oraz Medicinrådet 2026) oraz dwa stanowiska G-Ba 2026 wskazujące na prawdopodobną dodatkową korzyść kliniczną o nieokreślonej wielkości. Rekomendacje pozytywne uzasadniono wykazaną przewagą PEG + SoC nad PLC + SoC w zakresie redukcji

białkomoczu oraz potencjalnym wpływem na spowolnienie pogarszania funkcji nerek, przy porównywalnym profilu bezpieczeństwa; refundację uzależniono m.in. od obniżenia ceny leku. Wstępna negatywna rekomendacja NICE była związana przede wszystkim z niepewnością analizy ekonomicznej oraz niekorzystnym stosunkiem kosztów do efektów zdrowotnych. Negatywną rekomendację duńską wydano w oparciu o niepewne długoterminowe korzyści kliniczne oraz nieakceptowalną efektywność kosztową.

Produkt leczniczy Aspaveli w ocenianym wskazaniu jest finansowany w 5 krajach UE i EFTA (Austria, Czechy, Słowenia, Islandia i Niemcy).

Główne argumenty decyzji:

- *Brak kontrolowanych badań długoterminowych.*
- *Brak efektywności kosztowej.*
- *Bardzo wysoki koszt terapii.*
- *Finansowanie tylko w pięciu krajach UE i EFTA.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4131.8.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach nowego programu lekowego »Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplelowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją (ICD-10: N03.5, N05.5)«”, data ukończenia: 26.08.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ).