



Rekomendacja nr 142/2026

z dnia 18 września 2026 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego
Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu lekowego
B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”**

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Vyvgart (efgartigimod alfa) do podania podskórnego w programie lekowym B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”, **pod warunkiem** zastosowania instrumentu dzielenia ryzyka zapewniającego warunki finansowania co najmniej nie mniej korzystne niż warunki obowiązujące obecnie dla produktu Vyvgart w postaci dożylniej.

Uzasadnienie

Ocena dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Vyvgart (efgartigimod alfa) w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych (SC) w ampułkostrzykawce, w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”. W programie refundowana jest obecnie postać dożylna tego leku. Wnioskowane wskazanie obejmuje leczenie uzupełniające do standardowej terapii dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią rzekomoporaźną (gMG) z obecnością przeciwciał przeciw receptorowi acetylocholino. Kryteria kwalifikacji pacjentów do leczenia EFG SC są takie same jak w przypadku postaci dożylnej efgartigimodu (EFG IV).

Wytyczne uwzględniają EFG SC jako alternatywną postać efgartigimodu alfa, stosowaną w tej samej populacji i na tym samym etapie leczenia co EFG IV, nie wskazując przewagi klinicznej żadnej z dróg podania.

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii wskazał efgartigimod alfa podawany dożylnie (EFG IV), rawulizumab (RAW) i rozanoliksyzumab (ROZ). Wybór uznano za niepełny – za komparator należy również uznać rytuksymab, a także zilukoplan, który w przypadku objęcia refundacją może stanowić alternatywną terapię podskórną.

Analizę kliniczną dla EFG SC oparto głównie na badaniu RCT ADAPT-SC bezpośrednio porównującym EFG SC z refundowaną postacią dożylną EFG IV oraz wynikach badania obserwacyjnego ADAPT-SC+, badań efektywności praktycznej i opracowania wtórnego. W badaniu ADAPT-SC wykazano nie mniejszą skuteczność EFG SC względem EFG IV oraz porównywalne wyniki w zakresie większości ocenianych punktów końcowych. Z uwagi na brak badań bezpośrednio porównujących EFG SC z RAW i ROZ ocenę względem tych komparatorów oparto na podwójnych porównaniach pośrednich, które wskazywały na przewagę EFG SC dla części punktów końcowych ocenianych skalami MG-ADL i/lub QMG. Główne ograniczenia analizy klinicznej obejmują brak badań dla wnioskowanej formulacji w ampułkostrzykawce, brak bezpośrednich porównań z RAW i ROZ oraz nieuwzględnienie RTX i ZILU jako komparatorów.

Bezpieczeństwo EFG SC oceniono głównie w badaniu ADAPT-SC. W porównaniu z EFG IV częściej obserwowano reakcje w miejscu wstrzyknięcia i inne zdarzenia związane z leczeniem, natomiast nie wykazano różnic w zakresie większości pozostałych parametrów bezpieczeństwa, w tym poważnych zdarzeń niepożądanych i zgonów. Najczęstszymi działaniami niepożądanymi były łagodne lub umiarkowane reakcje w miejscu wstrzyknięcia. Zgodnie z ChPL najczęściej występują również zakażenia górnych dróg oddechowych i układu moczowego, a profil bezpieczeństwa EFG SC jest zgodny z profilem postaci dożylnej.

W ramach oceny ekonomicznej przeprowadzono analizę minimalizacji kosztów (CMA) z perspektywy płatnika publicznego, w 2-letnim horyzoncie czasowym. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie EFG SC w wariantcie z RSS wiąże się z niższymi kosztami terapii w porównaniu z EFG IV, RAW oraz ROZ.

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy wskazują, że objęcie refundacją produktu leczniczego Vyvgart SC w wariancie z RSS spowoduje obniżenie wydatków płatnika publicznego o ok. [REDAKTOWANO] w I roku oraz o ok. [REDAKTOWANO] w II roku refundacji.

Biorąc pod uwagę porównywalną skuteczność kliniczną podskórnej i dożylniej postaci efgartigimodu alfa, możliwość ograniczenia obciążeń systemowych związanych z koniecznością podawania leku w placówce leczniczej oraz wyniki analiz wskazujące na prognozowane oszczędności dla płatnika po uwzględnieniu RSS, a także pozytywne warunkowo stanowisko Rady Przejrzystości, Prezes Agencji uznaje finansowanie produktu leczniczego Vyvgart (efgartigimod alfa) SC za zasadne pod warunkiem określonym w sentencji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego:

- Vyvgart (efgartigimod alfa), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 1000 mg, 1 amp.-strzyk., 5 ml, GTIN: 04150197302503, proponowana cena zbytu netto: [REDAKTOWANO].

w programie lekowym B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)”.

Proponowana odpłatność i kategoria dostępności refundacyjnej: bezpłatnie, lek ma być stosowany w programie lekowym, w ramach nowej grupy limitowej.

Problem zdrowotny

Miastenia (MG, ang. myasthenia gravis) - ICD-10: G70.0 - jest nabytą chorobą autoimmunologiczną z grupy chorób nerwowo-mięśniowych, charakteryzującą się obecnością autoprzeciwciał przeciwko strukturom złącza nerwowo-mięśniowego, przede wszystkim receptorowi acetylocholino (AChR, ok. 85% przypadków), rzadziej kinazie tyrozynowej MuSK (ok. 10% przypadków), a sporadycznie białku LRP4 oraz innym antygenom.

Rozpoznanie opiera się przede wszystkim na potwierdzeniu obecności swoistych autoprzeciwciał (anty AChR, anty MuSK, anty LRP4). Obraz kliniczny cechuje się zmiennym nasileniem objawów oraz możliwością wystąpienia choroby w każdym wieku. Miastonii mogą towarzyszyć okresy zaostrzeń objawów znacznie utrudniające pacjentom codzienne funkcjonowanie, które jednocześnie bez odpowiedniej interwencji i leczenia mogą prowadzić do przetłomu miastenicznego, będącego stanem zagrożenia życia.

Miastenia jest chorobą rzadką o częstości występowania od 15 do 475 przypadków/mln oraz rocznej zapadalności 2,3–61,3 przypadków/mln (w zależności od położenia geograficznego). Szczyty zachorowań obserwuje się przed 40. r.ż. (głównie u kobiet) oraz po 60. r.ż. (częściej u mężczyzn).

Według danych CeZ (Centrum e-Zdrowia) dla 2024 i 2025 roku liczba dorosłych pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: G70.0 (miastenia) wynosiła odpowiednio 5 164 i 5 792 pacjentów, natomiast zapadalność (liczba nowych pacjentów z tym rozpoznaniem) wynosiła odpowiednio 1 643 i 1 817 pacjentów. W 2024 r. (uruchomienie programu) liczba pacjentów leczonych w PL B.157 wyniosła łącznie 16 pacjentów (5 – efgartigimodem, 11 – rytuksymabem), natomiast w 2025 r. było to 160 pacjentów (44 – efgartigimodem, 87 – rytuksymabem, 29 – rawulizumabem).

Alternatywna technologia medyczna

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii wskazał efgartigimod alfa podawany dożylnie (EFG IV), rawulizumab (RAW) i rozanoliksyzumab (ROZ). Wybór komparatora uznano za zasadny, jednak niepełny. W opinii Agencji za komparator należy również uznać rytuksymab, który zgodnie z wytycznymi klinicznymi i zapisami programu lekowego B.157 może być stosowany we wnioskowanej populacji. Należy także mieć na uwadze niedawną pozytywną rekomendację Prezesa Agencji dla zilukoplanu (ZILU), który podobnie jak EFG SC, jest lekiem podawanym podskórnie i w przypadku objęcia refundacją może stanowić istotną alternatywę terapeutyczną.

Opis wnioskowanego świadczenia

Efgartigimod alfa jest zmodyfikowanym fragmentem przeciwciała IgG1, który poprzez wiązanie z receptorem FcRn obniża stężenie krążących przeciwciał IgG, w tym patogennych autoprzeciwciał, nie wpływając na poziom innych immunoglobulin ani albumin. W miastonii ogranicza działanie autoprzeciwciał IgG przeciwko AChR, MuSK i LRP4, które odpowiadają za zaburzenia przewodnictwa nerwowo-mięśniowego.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) produkt leczniczy Vyvgart w postaci roztworu do wstrzykiwań jest zarejestrowany we wskazaniach do stosowania w:

- leczeniu uzupełniającym do standardowej terapii dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią rzekomoporażną (gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR);
- monoterapii w leczeniu dorosłych pacjentów z postępującą lub nawracającą aktywną przewlekłą zapalną polineuropatią demielinizacyjną (CIDP) po wcześniejszym leczeniu kortykosteroidami lub immunoglobulinami.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zawężone względem wskazania rejestracyjnego poprzez kryteria kwalifikacji do programu lekowego. Aktualnie w programie B.157 refundowana jest postać dożylna (IV) leku Vyvgart we wskazaniu odpowiadającym obecnie ocenianemu.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Do analizy skuteczności i bezpieczeństwa włączono jedno badanie RCT ADAPT-SC bezpośrednio porównujące EFG IV z EFG SC (*non inferiority*; Howard 2024, Van Doorn 2024), jedno badanie obserwacyjne ADAPT-SC+ (Howard 2024, abstrakty: Vu 2025, Cortes 2024, De Bleecker 2024b, Howard 2025, Van Doorn 2024, Sanka 2026, Meisel 2025), jedno opracowanie wtórne (Smith 2024), oraz badania efektywności praktycznej.

Nie odnaleziono badań pierwotnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo stosowania EFG SC w porównaniu do RAW lub ROZ. W celu przeprowadzenia porównania pośredniego włączono:

- 2 RCT porównujące EFG IV vs. PLC: ADAPT (Howard 2021) i Howard 2019 – wykorzystane na użytek porównania pośredniego EFG IV vs. RAW i EFG IV vs. ROZ,
- 1 RCT porównujące RAW vs. PLC: CHAMPION MG (publikacja Vu 2022) – wykorzystane na użytek porównania pośredniego EFG IV vs. RAW,
- 1 RCT porównujące ROZ vs. PLC: MycarinG (publikacje: Bril 2023 z korektą, Habib 2024) – wykorzystane na użytek porównania pośredniego EFG IV vs. ROZ.

W pierwszym etapie dokonano porównania EFG IV z RAW/ROZ poprzez wspólny komparator – PLC, następnie przeprowadzono porównanie EFG SC z RAW/ROZ, wykorzystując jako wspólny komparator EFG IV.

Skuteczność

EFG SC vs. EFG IV

W badaniu ADAPT-SC wykazano, że efgartigimod podawany podskórnie spełnił kryterium nie mniejszej skuteczności względem postaci dożylnej, osiągając pierwszorzędowy punkt końcowy dotyczący redukcji stężenia IgG w 4. tygodniu leczenia [MD -4,50 (-8,53; -0,47), $p=0,031$]. Nie stwierdzono istotnych statystycznie (IS) różnic pomiędzy grupami w zakresie zmian nasilenia objawów ocenianych w skali MG-ADL ani większości wyników skali QMG. Jedynie w 3. tygodniu obserwacji odnotowano przewagę EFG SC w zakresie QMG. Klinicznie istotną poprawę w skali QMG (≥ 3 pkt) obserwowano w obu ramionach badania w ciągu 1–2 tygodni od rozpoczęcia terapii, a efekt utrzymywał się do 8. tygodnia obserwacji. Odsetki pacjentów uzyskujących odpowiedź kliniczną w skalach MG-ADL i QMG oraz osiągających MSE (ang. *minimal symptom expression*) były porównywalne w obu ramionach badania.

EFG SC vs. RAW

W porównaniu pośrednim przeprowadzonym metodą Buchera wykazano przewagę EFG SC nad rawulizumabem pod względem zmian wyników MG-ADL [MD -2,24 (-3,93; -0,55), $p=0,0092$] i QMG [MD -4,31 (-6,78; -1,84), $p=0,0006$] w 4. tygodniu obserwacji. W dłuższym okresie - 10 tygodni - nie stwierdzono już IS różnic.

EFG SC vs. ROZ

Wyniki porównania pośredniego wskazały na korzystniejsze efekty terapii EFG SC w zakresie zmian wyników w skali QMG (MD -3,05 (-5,76; -0,34), $p=0,0272$) oraz poprawy o co najmniej 3 punkty względem wartości wyjściowej QMG w 4./6. tygodniu leczenia (OR 9,10 (2,02; 41,00), $p=0,0040$, RD 0,46 (0,17; 0,75), $p=0,0016$). Jednocześnie nie wykazano istotnych statystycznie różnic pomiędzy porównywanymi interwencjami dla punktów końcowych ocenianych przy użyciu skali MG-ADL.

Badania wtórne (Smith 2024)

W analizie wrażliwości EFG SC wykazał najwyższe prawdopodobieństwo bycia najskuteczniejszym leczeniem w uzyskaniu ≥ 3 -punktowej redukcji w skali QMG (68%) oraz ≥ 5 -punktowej redukcji w skali MG-ADL (85%). Wartości SUCRA dla EFG SC były najwyższe w przypadku: ≥ 3 -punktowej poprawy w QMG (93%) oraz ≥ 5 -punktowej poprawy w MG-ADL (97%).

Bezpieczeństwo

Profil bezpieczeństwa EFG SC oceniono głównie na podstawie badania ADAPT-SC. W porównaniu z postacią dożylną częściej obserwowano zdarzenia niepożądane związane z leczeniem oraz reakcje w miejscu wstrzyknięcia, w tym rumień i wysypkę. Nie wykazano istotnych różnic w zakresie poważnych zdarzeń niepożądanych, ciężkich zakażeń, przerwania leczenia z powodu działań niepożądanych ani zgonów. Zdarzenia niepożądane wystąpiły u 67,3% pacjentów leczonych EFG SC i 50,9% pacjentów otrzymujących EFG IV. Najczęstszymi działaniami niepożądanymi były reakcje w miejscu wstrzyknięcia (38,2%), które miały wyłącznie nasilenie łagodne lub umiarkowane i nie prowadziły do przerwania terapii. Ze względu na różnice metodologiczne i odmienny okres obserwacji nie przeprowadzono formalnych porównań z rawulizumabem (RAW) i rozanoliksyzumabem (ROZ). Odsetek pacjentów zgłaszających zdarzenia niepożądane wynosił 67,3% dla EFG SC, 90,7% dla RAW i 81,0% dla ROZ, natomiast poważne zdarzenia niepożądane odnotowano odpowiednio u 14,5%, 23,3% i 8,6% pacjentów. Zgony wystąpiły wyłącznie w grupie RAW (2,3%).

Zgodnie z ChPL najczęstszymi działaniami niepożądanymi EFG SC są reakcje w miejscu wstrzyknięcia (33%), zakażenia górnych dróg oddechowych (10,7%) oraz zakażenia układu moczowego (9,5%). Ogólny profil bezpieczeństwa postaci podskórnej jest zgodny ze znanym profilem bezpieczeństwa efgartigimodu podawanego dożylnie. Produkt leczniczy Vyvgart objęty jest dodatkowym monitorowaniem bezpieczeństwa.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami analizy klinicznej są: brak badań dotyczących wnioskowanej formulacji w ampułkostrzykawce, nieuwzględnienie wszystkich istotnych komparatorów (RTX, ZILU) oraz brak bezpośrednich porównań EFG SC z RAW i ROZ.

Szczegółowe ograniczenia zostały przedstawione w Analizie weryfikacyjnej.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka (RSS)



Ocena ekonomiczna, w tym stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Wnioskodawca przeprowadził analizę minimalizacji kosztów (CMA) dla porównania efgartigimodu alfa w postaci podskórnej (EFG SC) z efgartigimodem alfa podawanym dożylnie (EFG IV), rawulizumabem (RAW) oraz rozanoliksyzumabem (ROZ), z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), uznanej za tożsamą z perspektywą wspólną, w 2-letnim horyzoncie czasowym.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy:

- w porównaniu z EFG IV całkowity koszt terapii EFG SC jest wyższy o ok. [redacted] w wariancie bez RSS, natomiast niższy o ok. [redacted] w wariancie z RSS;
- w porównaniu z RAW całkowity koszt terapii EFG SC jest wyższy o ok. [redacted] w wariancie bez RSS, natomiast niższy o ok. [redacted] w wariancie z RSS;
- w porównaniu z ROZ całkowity koszt terapii EFG SC jest niższy o ok. [redacted] w wariancie bez RSS oraz o ok. [redacted] w wariancie z RSS.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami analizy ekonomicznej są: zastosowanie analizy minimalizacji kosztów mimo niepewności dotyczącej równorzędności efektów klinicznych ocenianych terapii, nieuwzględnienie w analizach wszystkich technologii alternatywnych oraz przyjęcie jednakowego założenia dotyczącego prawdopodobieństwa przerwania leczenia dla wszystkich uwzględnionych komparatorów. Pozostałe ograniczenia przedstawiono w Analizie weryfikacyjnej.

Obliczenia własne Agencji

[REDACTED]

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 2025 r. poz. 907, z późn. zm.)

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

Wnioskodawca oszacował wartość urzędowej ceny zbytu netto produktu leczniczego EFG SC, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania, tj. EFG IV. Ceny te zostały skorygowane przez Agencję o zastosowanie realnej ceny EFG IV i wynoszą:

[REDACTED]

Obliczenia własne Agencji

[REDACTED]

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

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w 2-letnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), tożsamej ze wspólną.

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [REDACTED].

Wyniki analizy z perspektywy NFZ wskazują, że objęcie refundacją produktu leczniczego Vyvgart SC spowoduje:

- obniżenie wydatków płatnika publicznego w wariantcie z RSS:
 - [REDACTED] w I roku refundacji,
 - [REDACTED] w II roku refundacji;
- wzrost wydatków płatnika publicznego w wariantcie bez RSS:
 - o ok. 11,54 mln PLN ([REDACTED]) w I roku refundacji,
 - o ok. 46,78 mln PLN ([REDACTED]) w II roku refundacji

Prognozowane oszczędności w wariantcie z RSS wynikają przede wszystkim z niższych kosztów farmakoterapii EFG SC w porównaniu z EFG IV, co jest związane m.in. z zależnym od masy ciała zużyciem fiolek w terapii dożylniej. Dodatkowym czynnikiem generującym oszczędności są niższe koszty podania leku w postaci podskórnej, przy założeniu samodzielnego wykonywania iniekcji przez pacjentów lub ich opiekunów od drugiego podania w drugim cyklu leczenia.

Składowa kosztu stanowiąca kwotę refundacji wnioskowanego produktu leczniczego w wariantcie podstawowym analizy z RSS wynosi ok. [REDACTED] w I roku oraz [REDACTED] w II roku refundacji.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami analizy wpływu na budżet są: niepewność oszacowań populacji docelowej, wynikająca z oparcia analiz na liczbie pacjentów leczonych dożylną postacią efgartigimodu alfa mimo przesłanek wskazujących na większą populację kwalifikującą się do leczenia, oraz założenia dotyczące

zmian udziałów rynkowych, zgodnie z którymi EFG SC będzie przejmował pacjentów wyłącznie od EFG IV, podczas gdy zasadne wydaje się także uwzględnienie przejęcia części udziałów innych terapii dostępnych w programie ze względu na potencjalne preferencje pacjentów dla podskórnej formy podawania leku. Ograniczenie stanowią również: ograniczony zakres analizy wrażliwości nieuwzględniający (zadeklarowanych przez wnioskodawcę) scenariuszy dotyczących [REDAKTOWANO] oraz alternatywnych sposobów podawania EFG SC.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

[REDAKTOWANO]

Uwagi do programu lekowego

Uwagi do programu lekowego przedstawiono w Analizie weryfikacyjnej.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono dziewięć zagranicznych konsensusów ekspertów dotyczących leczenia miastonii, w tym gMG u pacjentów z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino. W pięciu dokumentach (ABN 2025, SSN 2024, AWMF 2024, PNS 2026, Fionda 2026) uwzględniono efgartigimod alfa podawany podskórnie (EFG SC), jednak zalecenia ograniczają się do uwzględnienia dostępnych schematów dawkowania. EFG SC i EFG IV są w nich traktowane jako równoważne postacie tego samego leku, stosowane w tej samej populacji pacjentów i zajmujące to samo miejsce w ścieżce terapeutycznej, bez wskazania przewagi klinicznej którejkolwiek z nich.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 7 rekomendacji refundacyjnych dotyczących efgartigimodu alfa w leczeniu gMG:

- cztery pozytywne - dotyczące rozszerzenia istniejącej refundacji leku o postać podskórną w formie roztworu do wstrzykiwań w fiolet (HAS 2024, PBAC 2025) i roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (HAS 2025, PBAC 2026);
- dwie negatywne, w których oceniano objęcie finansowaniem publicznym efgartigimodu alfa niezależnie od drogi podania (NICE 2025, NT-rådets 2024),
- jedna pozytywna warunkowo, dotycząca efgartigimodu alfa zarówno w postaci dożylniej, jak i podskórnej (Infarmed 2026).

Francuska HAS wydała oceny pozytywne dla pacjentów AChR+, u których pomimo leczenia nadal utrzymują się objawy choroby, jednocześnie wydając rekomendacje negatywne dla wszystkich pozostałych sytuacji klinicznych objętych wskazaniem rejestracyjnym. W rekomendacjach pozytywnych uznano korzyść terapeutyczną postaci podskórnych EFG, jednak nie wykazano dodatkowej korzyści terapeutycznej w porównaniu z wcześniej dostępnymi postaciami tego samego leku (HAS 2024, HAS 2025).

W pozytywnych australijskich rekomendacjach wskazano na równoważność terapeutyczną postaci podskórnych (w fiolet i ampułkostrzykawce) względem postaci dożylniej (PBAC 2024, PBAC 2025).

Warunkowo pozytywna portugalska rekomendacja dla efgartigimodu alfa została uzależniona od uzyskania korzystniejszych warunków finansowania. Ocena opierała się na danych dotyczących postaci dożylniej, natomiast rekomendacja objęła zarówno postać dożylną, jak i podskórną (Infarmed 2026). Obie oceny negatywne wskazywały na nieefektywność kosztową terapii efgartigimodem alfa. Szwedzka ocena dotyczyła populacji zawężonej względem wskazania rejestracyjnego, tj. pacjentów, u których standardowe leczenie nie przynosi oczekiwanych efektów (NT-rådets 2024). Ocena NICE została oparta na danych dla postaci dożylniej; uznano, że postać podskórna nie wymaga odrębnej oceny ani rekomendacji, lecz zostanie uwzględniona w tych samych wytycznych.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Vyvgart SC (efgartigimod alfa) jest finansowany (stan na 03.08.2026 r.) w sześciu krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych), tj. w Austrii, Francji,

Hiszpanii, Holandii, Niemczech oraz Włoszech. We wszystkich krajach refundowane wskazanie jest zgodne z ChPL. W Niemczech finansowanie ograniczone jest do pacjentów [redacted]; we Francji i we Włoszech – do pacjentów [redacted]; natomiast w Hiszpanii – do pacjentów [redacted]

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 15.05.2026 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.490.2026.14.JWI), dotyczącego przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu lekowego: B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)” na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 136/2026.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 136/2026 z dnia 14 września 2026 roku w sprawie oceny leku Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)”.
2. Wniosek o objęcie refundacją leku Vyvgart (efgartigimod alfa SC) w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)” Analiza weryfikacyjna nr DOWM.4131.7.2026. Data ukończenia 03.09.2026.