



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)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyvgart (efgartigimod alfa), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 1000 mg, 1 amp.-strzyk., GTIN: 04150197302503, w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zarejestrowane wskazanie dla produktu leczniczego Vyvgart obejmuje leczenie uzupełniające do standardowej terapii dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią rzekomoporaźną (ang. generalized myasthenia gravis, gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (ang. acetylcholine receptor, AChR). Proponowany program lekowy wprowadza dodatkowe kryteria kwalifikacji, co zawęży populację pacjentów względem wskazania rejestracyjnego. Należy jednak zauważyć, że złożony wniosek dotyczy dodania efgartigimodu alfa (EFG) w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych (SC) w ampułkostrzykawce do programu lekowego B.157. Obecnie w programie refundowana jest postać dożylna (IV) tego leku.

Dowody naukowe

EFG IV z EFG SC

Wykazano, że terapia EFG SC nie jest istotnie gorsza od terapii EFG IV. Pierwszorzędowy punkt końcowy badania ADAPT-SC, tj. zmiana całkowitego

stężenia IgG względem wartości wyjściowej w 4. tygodniu, został osiągnięty. Nie odnotowano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy EFG SC i EFG IV w zakresie zmiany od wartości wyjściowej wyników ciężkości choroby w skali MG-ADL do 10. tygodnia badania. Klinicznie istotną poprawę (≥ 2 pkt w skali MG-ADL) obserwowano w całym okresie obserwacji, tj. do 10 tyg. dla EFG SC i EFG IV. Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy w zakresie zmiany od wartości wyjściowej wyników ciężkości choroby w skali QMG w trakcie obserwacji, z wyjątkiem 3. tygodnia, w którym wykazano istotną statystycznie przewagę EFG SC. Klinicznie istotną poprawę (≥ 3 punkty w skali QMG) obserwowano po tygodniu oraz dwóch od pierwszego podania odpowiednio w ramieniu EFG SC i EFG IV. CMI utrzymywała się do 8. tyg. łącznie. Nie odnotowano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy EFG SC i EFG IV w zakresie odsetka pacjentów AChR-Ab+ osiągających odpowiedź w skali MG-ADL, QMG do 10. tygodnia analizy oraz osiągających MSE w dowolnym punkcie czasowym.

EFG SC vs. RAW

W przeprowadzonym porównaniu pośrednim metodą Buchera wykazano istotną statystycznie różnicę na korzyść EFG SC względem RAW w zakresie zmian wartości w skali MG-ADL i QMG w 4. tygodniu. Nie odnotowano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy porównywanymi interwencjami w 10. tygodniu analizy.

EFG SC vs. ROZ

W przeprowadzonym porównaniu pośrednim metodą Buchera wykazano istotną statystycznie różnicę na korzyść EFG SC względem ROZ w zakresie zmian wartości w skali QMG w 4./6. tygodniu analizy oraz odsetka pacjentów z poprawą całkowitego wyniku w skali QMG o co najmniej 3 punkty względem wartości wyjściowej w 4./6. tygodniu analizy. Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy dla punktów końcowych związanych z oceną w skali MG-ADL.

Analiza bezpieczeństwa

EFG IV vs. EFG SC

Wykazano istotne statystycznie różnice na niekorzyść EFG SC względem EFG IV w zakresie zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (TEAE), miejscowych reakcji w miejscu wstrzyknięcia (ISR), wysypki w miejscu wstrzyknięcia, zaostrzeń objawów miastonii i rumienia w miejscu wstrzyknięcia. Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic między ramionami badania w zakresie pozostałych punktów końcowych związanych z bezpieczeństwem. Zdarzenia niepożądane odnotowano u 67,3% pacjentów w ramieniu EFG SC i 50,9% w ramieniu EFG IV. W badaniu nie odnotowano żadnego zgonu. Odnotowano 2 zdarzenia niepożądane prowadzące do przerwania stosowania EFG SC. Najczęstsze zdarzenia niepożądane u pacjentów przyjmujących

EFG SC to miejscowe reakcje w miejscu wstrzyknięcia (38,2%; miały wyłącznie nasilenie łagodne lub umiarkowane).

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono dziewięć zagranicznych konsensusów ekspertów dotyczących leczenia miastonii, w tym gMG u pacjentów z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (ABN 2025, HNS 2025, SSN 2024, AWMF 2024, PNS 2026, SANEM 2025, De Bleecker 2024a, Fionda 2026, Gilhus 2024).

Ze względu na fakt, że efgartigimod alfa jest już obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.157, a przedmiot niniejszego zlecenia dotyczy wyłącznie rozszerzenia zakresu refundacji o dodatkową drogę podania, odnalezione wytyczne przeanalizowano w kontekście informacji dotyczących efgartigimodu alfa SC.

Pięć wytycznych (ABN 2025, SSN 2024, AWMF 2024, PNS 2026, Fionda 2026) odnosi się do efgartigimodu alfa SC, przy czym zawarte w nich informacje dotyczą wyłącznie dostępnych schematów dawkowania. W wytycznych praktyki klinicznej EFG SC i EFG IV są przedstawiane jako dwie postaci EFG, stosowane w tej samej populacji i zajmujące to samo miejsce w ścieżce leczenia. Wytyczne nie wskazują na przewagę kliniczną EFG SC lub EFG IV.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Vyvgart S.C. w ampułkostrzykawce w wariancie podstawowym będzie wiązało się

z dodatkowymi kosztami w wariancie z RSS oraz wzrostem wydatków NFZ o ok. 11,54 mln PLN w I roku i o ok. 46,78 mln PLN w II roku refundacji w wariancie bez RSS.

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano cztery rekomendacje pozytywne dotyczące podskórnej postaci efgartigimodu alfa w leczeniu gMG. Dotyczyły one rozszerzenia istniejącej refundacji efgartigimodu alfa o postać podskórną w formie roztworu do wstrzykiwań w fiolce (HAS 2024, PBAC 2025) i roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (HAS 2025, PBAC 2026). Ponadto zidentyfikowano trzy rekomendacje dotyczące efgartigimodu alfa w postaci dożylniej i podskórnej (oceniano objęcie finansowaniem publicznym efgartigimodu alfa niezależnie od drogi podania) w leczeniu gMG: dwie rekomendacje negatywne (NICE 2025, NT-rådets 2024) oraz jedną rekomendację pozytywną warunkową (Infarmed 2026).

W pozytywnych rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na równowagę terapeutyczną postaci podskórnych efgartigimodu alfa (w fiolce i ampułkostrzykawce) względem postaci dożylniej (PBAC 2025, PBAC 2026) oraz

korzyść terapeutyczną postaci podskórnych, jednak nie wykazano dodatkowej korzyści terapeutycznej w porównaniu z wcześniej dostępnymi postaciami tego samego leku (HAS 2024, HAS 2025).

W rekomendacji pozytywnej warunkowo zwraca się uwagę na konieczność wynegocjowania korzystniejszych warunków finansowania (Infarmed 2026). W negatywnych rekomendacjach wskazano, że terapia jest nieefektywna kosztowo (NICE 2025, NT-rådets 2024).

Główne argumenty decyzji

- Wyniki badań klinicznych oraz zalecenia i wytyczne towarzystw naukowych;
- Pozytywne decyzje refundacyjne w innych krajach UE.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DOWM.4131.7.2026 „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)«”, data ukończenia: 03.09.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Medison Pharma Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Medison Pharma Sp. z o.o. 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: Medison Pharma Sp. z o.o.