

SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS209475/2025, datum: 13. 1. 2026

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek VYVGART (obsahující léčivou látku efgartigimod alfa pro podkožní podání) je určený k přídatné léčbě ke standardní terapii u dospělých pacientů s generalizovanou myasteniam gravis (gMG), kteří mají pozitivní nález protilátek proti acetylcholinovým receptorům (AChR).

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „LP“) VYVGART představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny dospělých pacientů s gMG, kteří mají pozitivní nález protilátek proti AChR oproti placebo. Přípravek má potenciál klinicky významně zlepšit celkové skóre MD-ADL (Myasthenia Gravis Activities of Daily Living).

Přípravek splňuje odborná kritéria pro posouzení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP) daná ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění, protože v dostatečné míře bylo doloženo, že v hodnoceném primárním parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30 % zlepšení oproti hrazené léčbě. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění souladný s veřejným zájmem.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje první dočasnou úhradu přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení LP VYVGART do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií a farmakoekonomické analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální doporučené postupy k terapii k terapii myastheniam gravis i vyjádření České neurologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku VYVGART bude v další fázi správního řízení přiznána **první dočasná úhrada na 3 roky**, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS209475/2025

Léčivý přípravek

Žadatel: **argenx BV**

Zástupce: **Medison Pharma s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: efgartigimod alfa, podkožní podání

ATC: L04AA58

Léčivý přípravek: VYVGART 1000MG INJ SOL 1X5,6ML

Držitel rozhodnutí o registraci:

argenx BV, Industriepark-Zwijnaarde 7, 9052 Gent, Belgické království

Posuzovaná indikace

Přídavná léčba ke standardní terapii u dospělých pacientů s generalizovanou myasteniou gravis, kteří vykazují pozitivitu na protilátky proti acetylcholinovému receptoru.

Stanovisko k žádosti

Účinnost a bezpečnost LP VYVGART pro podkožní podání byla doložena ve studii ADAPT, ve které efgartigimod alfa (add-on ke konvenční léčbě, tj. inhibitory cholinesterázy, kortikosteroidy a imunosupresiva) prokázal v 1. cyklu léčby signifikantní a klinicky významné zlepšení MG-ADL skóre (hodnotí vliv onemocnění na běžné denní aktivity a kvalitu života) oproti placebo. Data z prodlouženého sledování ukazují setrvalou a klinicky významnou účinnost efgartigimodu alfa v parametru průměrné změny MG-ADL skóre během 10 cyklů léčby oproti výchozímu stavu. Ve studii ADAPT-SC byl prokázán stejný efekt léčby u efgartigimodu alfa v nitrožilní formě podání a v podkožní formě podání.

Výsledek analýzy nákladové efektivity LP VYVGART pro podkožní podání jako přídavné léčby (*add-on*) ke standardní terapii v indikaci gMG u dospělých pacientů ve srovnání s placebem se standardní terapií ukazuje ICER ve výši 12 054 539 milionů Kč/QALY. Léčivý přípravek tak v předemné indikaci nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi.

Ústav doplňuje, že pro přiznání dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 57 až 123 celkem léčených pacientů (57 až 18 nově léčených pacientů) a ukazuje výsledek ve výši 283 až 313,1 milionů Kč v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné důkazy považovat za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP

Léčivý přípravek byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

K léčivému přípravku nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně.

Maximální cena byla vypočtena jako průměr cen výrobce přípravku v zemích referenčního koše (*Itálie, Francie, Německo*).

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0272072	VYVGART	1000MG INJ SOL 1X5,6ML	357 357,24	409 205,87

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

142,8571 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena dočasná na 3 roky následovně.

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné v Itálii.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0272072	VYVGART	1000MG INJ SOL 1X5,6ML	349 592,75	349 592,75	400 335,72

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Efgartigimod je hrazen jako přídatná léčba ke standardní léčbě dospělých pacientů s generalizovanou myasthenia gravis ve stadiu MGFA II-IV, s MG-ADL skóre minimálně 5 (alespoň 50 % symptomů musí tvořit neokulární symptomy), s pozitivními protilátkami proti acetylcholinovému receptoru (AbAChR+) a nemají dostatečně kompenzované onemocnění navzdory konvenční terapii (inhibitory cholinesterázy, kortikosteroidy, nesteroidní imunosupresiva).

Odpověď na léčbu efgartigimodem je zhodnocena po dvou úvodních 4týdenních léčebných cyklech. Pacient odpovídá na léčbu, pokud dosáhne snížení hodnoty skóre MG-ADL o alespoň 2 body oproti výchozímu stavu. Léčba bude přerušena u pacientů, kteří zaznamenali odpověď na léčbu a došlo u nich k poklesu hodnoty skóre MG-ADL pod 5 bodů. V léčbě efgartigimodem se pokračuje v případě, že pacient opět dosáhne hodnoty skóre MG-ADL minimálně 5 bodů. Přerušování a pokračování léčby efgartigimodem lze opakovat v návaznosti na změny hodnoty skóre MG-ADL.

Léčba efgartigimodem bude trvale ukončena v případě nedosažení odpovědi na léčbu po prvních dvou cyklech (viz výše). Efekt léčby bude dále pravidelně hodnocen po každých třech 4týdenních cyklech a při nedosažení

odpovědi (tj. snížení hodnoty skóre MG-ADL o alespoň 2 body oproti stavu před podáním posledního cyklu) bude léčba trvale ukončena. Léčba efgartigimodem je ukončena při myasthenické krizi, pro non-compliance pacienta nebo v případě nutnosti podání záchranné terapie (IVIg, plazmaferéza, imunoabsorpce).