

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS209475/2025, datum: 30. 7. 2026

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek VYVGART (obsahující léčivou látku efgartigimod alfa pro podkožní podání) je určený k přidatné léčbě ke standardní terapii u dospělých pacientů s generalizovanou myastenii 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 placebu. LP VYVGART má potenciál klinicky významně zlepšit celkové skóre MG-ADL (Myasthenia Gravis Activities of Daily Living).

LP 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 myasthenie gravis i vyjádření České neurologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP VYVGART bude v další fázi správního řízení přiznána **první dočasná úhrada na 3 roky**, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovna) 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 myastenií 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 9 835 478 Kč/QALY. Scénář zohledňující uzavřené finanční ujednání na LP VYVGART je příznivější, ale není srovnatelný s poměrem nákladů a přínosů jiných již hrazených terapeutických intervencí. Léčivý přípravek tak v předmětné 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 229 celkem léčených pacientů (57 až 43 nově léčených pacientů) a ukazuje výsledek ve výši 240,3 mil. až 547,2 milionů Kč v prvních pěti letech. Při zohlednění uzavřeného finančního ujednání je výsledek analýzy dopadu na rozpočet příznivější. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné důkazy považovat za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu byly předloženy smlouvy uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP

LP VYVGART byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou. Nebyla k němu 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 (*Francie, Itálie, Španělsko*).

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	337 153,26	386 124,84

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 ve Francii.

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	296 657,58	339 862,58

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. Přerušení 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).