

Vyvgart (efgartigimod alfa) vid generaliserad myastenia gravis (gMG)

NT-rådets yttrande till regionerna 2024-10-11

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att inte använda Vyvgart vid generaliserad myastenia gravis.

Tillståndets svårighetsgrad är måttlig till hög.

Tillståndet är vanligt.

Osäkerheten i den vetenskapliga dokumentationen är måttlig.

Osäkerheten i den hälsoekonomiska värderingen är mycket hög.

Vyvgart finns i två administreringsformer, en intravenös (iv) och en subkutan (sc). Den subkutana innehåller förutom efgartigimod alfa även hyaluronidas.

TLV bedömer att företagets hälsoekonomiska analys där den intravenösa beredningsformen av Vyvgart som tillägg till standardbehandling jämförs med inget tillägg till standardbehandling inbegriper så stora osäkerheter att TLV i stället för ett grundscenario redovisar ett antal scenarioanalyser. Osäkerheterna beror på företagets modellering och antaganden avseende den kliniska effekten samt användningen av behandlingsspecifika livskvalitetsvikter. I scenarioanalyserna varierar kostnaden per vunnet QALY för Vyvgart iv mellan 22 och 56 miljoner kronor. Den subkutana beredningsformen av Vyvgart, beräknas kosta mellan 17 och 45 miljoner kronor per vunnet QALY.

QALY-kostnaden ligger mycket långt över vad som kan anses vara en rimlig kostnad i alla scenarioanalyser. Trots osäkerheter i den hälsoekonomiska analysen är det därmed stor säkerhet i bedömningen att Vyvgart inte är kostnadseffektivt.

Det finns tre nivåer för NT-rådets rekommendationer till regionerna: att läkemedlet bör användas, kan användas eller att läkemedlet inte ska användas. Rekommendationen i det här fallet är att inte använda Vyvgart eftersom det inte anses kostnadseffektivt.

Om läkemedlet

Vid gMG bildar kroppen ofta antikroppar mot de acetylkolinreceptorer som behövs för impulsöverföringen från nerv till muskel. Efgartigimod alfa ökar nedbrytningen av immunglobulin, inklusive patogena antikroppar mot acetylkolinreceptorer. Därvid förbättras muskelfunktionen.

Vyvgart är avsett som ett tillägg till standardterapi för behandling av vuxna patienter med generaliserad myastenia gravis (gMG) som har antikroppar mot acetylkolinreceptorer.

Dokumenterad effekt

Vyvgart iv som tillägg till standardterapi har studerats i den randomiserade, dubbelblinda, fas 3-studien ADAPT där effekten jämfördes med placebo som tillägg till standardterapi. 167 vuxna patienter med gMG med eller utan påvisade antikroppar mot acetylkolin och med minst fem poäng på skalan MG-ADL randomiserades 1:1. Primärt effektmått var minst 2 poängs förbättring på MG-ADL-skalan under de fyra första veckorna. För dem med påvisade antikroppar mot acetylkolin som erhöll Vyvgart uppnådde 68 % en förbättring med minst två poäng på MG-ADL-skalan under de första fyra veckorna jämfört med 30 % för dem som fick placebo, oddskvot 4,95 (95 % KI 2,21–11,53) $p < 0,0001$.

Vyvgart sc har jämförts mot Vyvgart iv i den öppna, randomiserade fas 3-studien ADAPT SC. 110 patienter inkluderades. Syftet var att visa att Vyvgart sc inte är sämre än Vyvgart iv förutsatt att 10 % differens i effekt dem emellan tilläts. Primärt effektmått var genomsnittlig reduktion av totalt IgG jämfört med utgångsvärdet vid dag 29. Vyvgart sc visade en jämförbar effekt med Vyvgart iv.

Vyvgart iv är ett rekvisitionsläkemedel och administreras som intravenös infusion av sjukvårdspersonal. Det blev godkänt för försäljning 2022-08-10.

Vyvgart sc är administreras initialt av eller under överinseende av sjukvårdspersonal, men är därefter möjligt att administreras av patient. Det blev godkänt för försäljning 2023-11-15.

NT-rådets bedömning gällande läkemedlet

Den sammanvägda bedömningen gällande läkemedlet baseras på en värdering utifrån den etiska plattformen för prioriteringar och dess tre principer: människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Vid bedömningen har tillståndets svårighetsgrad, tillståndets sällsynthet och åtgärdens kostnadseffektivitet vägts in. Även osäkerheten i den hälsoekonomiska bedömningen påverkar vilken kostnad som bedöms acceptabel.

Tillståndets svårighetsgrad

Tillståndets svårighetsgrad är måttlig till hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Vid generaliserad MG är bulbära symtom i form av tal- och sväljsvårigheter, samt nacksvaghet vanligt förekommande. Symtomen är initialt oftast smygande och progredierar fluktuerande under veckor till månader.

Förekomst av tillståndet

Tillståndet är vanligt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt och vanligt).

Cirka 2500 personer har gMG i Sverige men många av dessa svarar på standardbehandling varför betydligt färre skulle vara aktuella för Vyvgart.

Åtgärdens kostnadseffektivitet

Kostnaden per behandlingscykel för Vyvgart vid en kroppsvikt på 70 kg är 687 840 kr. En cykel varar i fyra veckor och nästa cykel kan påbörjas tidigast sju veckor efter första dosen i föregående cykel.

Osäkerhet i underlaget

Osäkerhet i den vetenskapliga dokumentationen

Osäkerheten är måttlig (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Den pivotala fas 3-studien är randomiserad, dubbelblind och möjliggör en direkt jämförelse med det mest relevanta jämförelsealternativet, inget tillägg till standardterapi. Att deltagarantalet var lågt och uppföljningstiden kort medför dock en viss osäkerhet.

Osäkerhet i den hälsoekonomiska bedömningen

Osäkerheten är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Att effekten beräknas utifrån en indelning av patienter i olika stadier på MG-ADL-skalan trots att sådan stadieindelning har tveksam klinisk relevans gör effekten svårvärderad. Likaså att ingen hänsyn tas till att olika symtom kan sänka livskvaliteten olika mycket.

Effekten av Vyvgart avtar när patienten permanent avbrutit behandlingen men företagets modellerade effekt överensstämmer inte med det. Detta medför en stor osäkerhet.

Referenser

[TLV:s hälsoekonomiska värdering](#)

[EPAR \(produktresumé\)](#)

[Assessment report \(effekt och säkerhet\)](#)

[Pivotal studie](#)

Närvarande vid beslut

Åsa Derolf, ordförande NT-rådet; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Rickard Malmström, Sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.