

14.9.2023

STM023:00/2023  
VN/1238/2023

## **SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION VID BEHANDLINGEN AV EFGARTIGIMOD ALFA MYASTHENIA GRAVIS**

Rekommendationen godkändes vid tjänsteutbudsrådets möte den 14 september 2023.

Efgartigimod alfa ingår inte i det nationella tjänsteutbudet vid behandling av generaliserad myasthenia gravis. Svaret på behandlingen var kortvarigt och forskningsdata finns tills vidare endast från en kort tid. Därför är läkemedlets kliniska betydelse oklar. Det behövs mer information om jämförelsen av läkemedlet med andra behandlingar och dess kostnadseffektivitet.

Myasthenia gravis är en långvarig autoimmun sjukdom där signalöverföringen från nerv till muskel är störd. Detta orsakar svaghet och trötthet i de viljestyrda musklerna. I värsta fall kan sjukdomen vara livshotande. I slutet av år 2022 fanns det 1659 personer i Finland som var berättigade till specialersättning för myasthenia gravis-läkemedel. Det rapporteras 40–50 nya fall per år. Kring 85 % av patienterna lider av generaliserad myasthenia gravis.

Efgartigimod alfa har fått försäljningstillstånd som tilläggläkemedel till vanlig behandling vid behandling av myasthenia gravis. Det doseras till patienten på sjukhuset som intravenös infusion, till en början en gång i veckan under fyra veckors tid och därefter enligt klinisk bedömning.

Efgartigimod alfas försäljningstillstånd grundar sig på slumpmässig, dubbelblind undersökning där det jämfördes med den s.k. standardbehandlingen. Undersökningen var kort, endast 26 veckor. Den genomsnittliga behandlingstiden i båda undersökningsramarna var 152 dagar och största delen av patienterna hann endast få behandling under de två första behandlingscyklerna.

Svarsfrekvensen hos patienterna som fått efgartigimod alfa var större än de som fått placebo under de första behandlingscyklerna hos AChR-antikroppspositiva patienter. Enligt bedömning av studiens effektmått erhöles en blygsam, om än kliniskt betydelsefull förändring enligt expertbedömningarna. Svarets varaktighet förblev dock kort med beaktande av sjukdomens karaktär, dvs. svar kvarstod endast hos cirka en tredjedel av patienterna som fått efgartigimodi alfa i 12 veckor. Forskningsbevisets största osäkerhet gäller antalet behandlingscykler som behövs samt doseringsintervallet.

Lindriga eller måttliga biverkningar var tämligen vanliga och de berodde troligtvis delvis på bakgrundssjukdomen.

Efgartigimodi alfa är en väldigt dyr behandling med årliga patientspecifika läkemedels- och doseringskostnader på cirka 280 000 euro enligt offentliga partiförsäljningspriser. Uppskattningen av antalet patienter och därmed även den totala budgeteffekten varierar. Innehavaren av läkemedlets försäljningstillstånd har inte presenterat någon kostnadseffektanalys.

Detta är en sammanfattning av en rekommendation som tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården har godkänt. Själva rekommendationen och bakgrundsmaterialet finns på finska på tjänsteutbudsrådets webbplats under [färdiga rekommendationer](#).

Sammanfattningarna på [finska](#) och [engelska](#) finns också på webbplatsen.

Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården finns i anslutning till social- och hälsovårdsministeriet och har till uppgift att ge rekommendationer om vilka hälso- och sjukvårdsmetoder som ska höra till den offentligt finansierade hälso- och sjukvården. Du kan läsa mer om tjänsteutbudet inom hälso- och sjukvården på [tjänsteutbudsrådets webbplats](#).