

1 Nyilvános összefoglaló

1. Kérelem tárgya

A kérelem a **Rystiggo 140 mg/ml oldatos injekció** készítmény társadalombiztosítási támogatásba történő felvételére irányul.

A kérelmező a nevezett termék tételes elszámolás szerinti támogatását kéri a következő, új, létesítésre javasolt indikációban:

Generalizált myasthenia gravis (gMG) kezelésére szolgáló standard terápia kiegészítéseként olyan felnőtt betegek számára, akik anti-acetilkinolin-receptor- (AChR) vagy Muscle-like kináz (MuSK) antitest-pozitívak és a jelenlegi kezelési eljárások mellett betegségük nem kontrollált, gyakori, súlyos tüneteket vagy debilitáló mellékhatásokat tapasztalnak.

A készítmény hatóanyaga, a **L04AG16** ATC-kódú **rozanolixizumab** hatóanyag, mely jelenleg nem támogatott.

A **Rystiggo 140 mg/ml oldatos injekció** készítmény alkalmazási előírásában terápiás javallat a következő:

A Rystiggo a generalizált myasthenia gravis (gMG) kezelésére szolgáló standard terápia kiegészítéseként javallott olyan felnőtt betegeknél, akik acetilkinolin-receptor- (AChR) elleni vagy izomspecifikus tirozin-kináz- (MuSK) elleni antitest pozitívak.

A kérelem PICO struktúráját az 1. táblázat mutatja.

1. táblázat: A kérelmezett indikáció PICO struktúrája

	Populáció	Beavatkozás	Komparátor	Végpont
Kérelmezett indikáció alapján definiált	Generalizált myasthenia gravis (gMG) kezelésére szolgáló standard terápia kiegészítéseként olyan felnőtt betegek számára, akik anti-acetilkinolin-receptor- (AChR) vagy Muscle-like kináz (MuSK) antitest-pozitívak és a jelenlegi kezelési eljárások mellett betegségük nem kontrollált, gyakori, súlyos tüneteket vagy debilitáló	rozanolixizumab 140 mg/ml ≥ 35 – <50 kg heti dózis: 280 mg (2 ml) ≥ 50 – <70 kg heti dózis: 420 mg (3 ml) ≥ 70 – <100 kg heti dózis: 560 mg (4 ml) ≥ 100 kg heti dózis: 840 mg (6 ml)	– efgartigimod heti 1x, 10 mg/ttkg IV infúzió, 4 héten keresztül ≥120 kg ttk esetén: 1200 mg infúzióként – ekulizumab: Kezdeti szakasz: heti 1x 900 mg IV 4 héten át Fenntartó szakasz: 1200 mg Soliris IV 5. héten, majd ezt követően 1200 mg IV 14± 2 naponta.	– MG-ADL – QMG – MG-ADL változás – QMG változás – MGC változás – MG-QoL-15 (életminőség)

	mellékhatásokat tapasztalnak.			
Orvosszakmai bizonyítékok alapján definiált	Generalizált myasthenia gravis (gMG) kezelésére szolgáló standard terápia kiegészítéseként olyan felnőtt betegek számára, akik anti-acetilkin-receptor-(AChR) vagy Muscle-like kináz (MuSK) antitest-pozitívak és a jelenlegi kezelési eljárások mellett betegségük nem kontrollált, gyakori, súlyos tüneteket vagy debilitáló mellékhatásokat tapasztalnak.	rozanolixizumab 7 mg/kg vagy 10 mg/kg heti 1x IV	– <u>efgartigimod-alfa</u> heti 1x, 10 mg/ttkg IV infúzió, 4 héten keresztül ≥ 120 kg ttk esetén: 1200 mg infúzióként – <u>ekulizumab:</u> Kezdeti szakasz: heti 1x 900 mg IV 4 héten át Fenntartó szakasz: 1200 mg Soliris IV 5. héten, majd ezt követően 1200 mg IV 14± 2 naponta.	– MG-ADL – QMG – MG-ADL változás – QMG változás – MGC változás – MG-QoL-15 (életminőség)
Egészség-gazdaságtani elemzésben szereplő	Generalizált myasthenia gravis (gMG) kezelésére szolgáló standard terápia kiegészítéseként olyan felnőtt betegek számára, akik anti-acetilkin-receptor-(AChR) vagy Muscle-like kináz (MuSK) antitest-pozitívak és a jelenlegi kezelési eljárások mellett betegségük nem kontrollált, gyakori, súlyos tüneteket vagy debilitáló mellékhatásokat tapasztalnak.	rozanolixizumab 140 mg/ml $\geq 35 - <50$ kg heti dózis: 280 mg (2 ml) $\geq 50 - <70$ kg heti dózis: 420 mg (3 ml) $\geq 70 - <100$ kg heti dózis: 560 mg (4 ml) ≥ 100 kg heti dózis: 840 mg (6 ml)	– <u>efgartigimod-alfa</u> heti 1x, 10 mg/ttkg IV infúzió, 4 héten keresztül ≥ 120 kg ttk esetén: 1200 mg infúzióként – <u>ekulizumab:</u> Kezdeti szakasz: heti 1x 900 mg IV 4 héten át Fenntartó szakasz: 1200 mg Soliris IV 5. héten, majd ezt követően 1200 mg IV 14± 2 naponta.	– CUA – MG-ADL – QMG – MG-ADL változás – MGC változás

Forrás: TEF saját összeállítás a benyújtott dokumentáció alapján

2. A kérelmezett indikációban alkalmazható és elérhető kezelési alternatívák

2.1. A kérelmezett indikációban alkalmazható kezelések

A myasthenia gravis terápia célja a tartós remisszió elérése, a gyógyszerek mellékhatásainak minimalizálása mellett.

A terápiás lehetőségek közé gyógyszeres (tüneti és immunmoduláló), valamint a nem gyógyszeres terápiás opciók (pl. plasmaferesis, thymectomy) tartozik. A tüneti szerek közé tartozik a kolinészteráz-gátló (ezek közül a legelterjedtebb a pyridostigmin) az ACh lebomlását gátolják a neuromuscularis junctionban. Az MG immunmoduláló kezelésének célja a patogén ellenanyagok termelésének gátlása, vagy az általuk okozott károsodás csökkentése. Az immunmoduláló kezelés célja a remisszió elérése, majd fenntartása. Terápiás opciók: plasmaferesis, intravénás immunglobulinok, szteroid, azatioprin, metotrexát, ciklosporin, mikofenolát mofetin, takrolimus, anti CD20 rituximab (köztül több off-label use), valamint a releváns indikációban az elmúlt néhány évben engedélyezett biológiai terápiák, pl. az ekulizumab az efgartigimod, a ravulizumab és a zilucoplan.

Az **UpToDate** az exacerbációk kezelésével kapcsolatosan a plasmapheresis, az intravénás immunglobulin-kezelés és biológiai terápiák szerepét nevesíti. A biológiai terápiák (efgartigimod alfa, rozanolixizumab, ravulizumab és zilucoplan) krónikus immunterápiaként alkalmazható AChR antitest-pozitív, generalizált MG-ben szenvedő betegeknél. rozanolixizumabot és a zilucoplant 2023-ban hagyta jóvá, de az MG terápiás spektrumában elfoglalt helyüket még nem határozták meg.

International Consensus Guidance for Management of Myasthenia Gravis 2020-ban frissítette thymectomiára vonatkozó terápiás ajánlásait, valamint ajánlást fogalmazott meg a rituximab, metotrexát, ekulizumab terápiákra és a korai immunszuppresszióra okuláris MG esetén, valamint az immuncheckpoint gátlókhöz társuló MG kezelésére vonatkozóan is.

Hazai hatályos szakmai irányelv vagy finanszírozási eljárásrend nem áll rendelkezésre.

2.2. A kérelmezett indikációban hazai körülmények között elérhető kezelések

A kérelmezett indikációban jelenleg támogatottan elérhető terápiás opciók közé tartoznak:

A kolinészteráz-inhibitorok közül a piridostigmin. A neostigmin nem részesül közfinanszírozásban, de a terápiás gyakorlatban elérhető.

Immunmoduláló kezelés: a kortikoszteroidok (pl. orális prednizon), a nem szteroid immunszuppresszív terápiák (pl. azatioprin, mikofenolát-mofetil) indikáción túli alkalmazásban érhető el, a monoklonális antitestek közül a rituximab elérhető (indikáción túli alkalmazás) illetve további terápiaként a ciklosporin off-label alkalmazásban használt másodvonalban.

Az ekulizumab és ravulizumab törzskönyvezett, de jelenleg rendszerszinten nem támogatott.

Támogatott a plasmaferesis terápia, valamint az intravénás immunglobulin.

Valamint támogatott eljárás a thymectomy.

3. Komparátorválasztás

A Kérelmező egészség-gazdaságtani elemzésében az ekulizumab és az efgartigimod terápia a komparátor.

A Kérelmező komparátorválasztása a szakmai ajánlásoknak megfelel, azonban az ekulizumab és az efgartigimod-alfa nem támogatott rendszerszinten.

4. A kérelmezett technológia orvosszakmai bizonyítékainak bemutatása és bizonyítékainak értékelése

4.1. Relatív hatásosság

A beadvány egy nem publikált, nem a végső formában megadott (vázlatos csatolt verzió) hálózatos meta-analízisre épül. A hálózatos meta-analízisben (NMA) 13 tanulmányt vontak be, amelyben a zilucoplan és rozanolixizumab hatékonyságát hasonlítják össze a generalizált myasthenia gravis (gMG) kezelésében a többi komparátorral szemben, amelyek a következők voltak: efgartigimod, ravulizumab, ekulizumab, PLEX, IVIg. Az NMA-ban a következő végpontokat tekintették releváns összehasonlító végpontoknak:

- a kezelésre adott válasz az MG-ADL (Myasthenia Gravis Activity of Daily Living) skála alapján értékelve
- a kezelésre adott válasz QMG (Quantitative Myasthenia Gravis) skála alapján értékelve
- a kiindulási értékhez képesti MG-ADL pontszámokban elért változás
- a kiindulási értékhez képesti QMG pontszámokban elért változás
- a kiindulási értékhez képesti MGC (Myasthenia Gravis Composite) pontszámokban elért változás
- MG-QoL-15 kérdőív alapján értékelt életminőség paraméterek.

A szisztemás irodalomkutatás a következő adatbázisok felhasználásával történt: Embase®, Cochrane, MEDLINE®. Összesen 206 publikáció került kiválasztásra, amely 73 vizsgálatot foglalt magába. Ebből végül 13 tanulmány került bele az NMA-ba.

A felsorolt végpontokban a rozanolixizumab nem mutatott szignifikáns különbséget a komparátor készítményekkel szemben.

A hálózatos meta-analízisbe (NMA) bevont vizsgálatok egymáshoz képest nagy heterogenitást mutattak, amely az eredmények torzítását okozhatja. A heterogenitás az alapállapotú jellemzőkben, például az elsődleges végpontnak választott MG-ADL pontszámok alap értékeiben is megfigyelhető, ami arra utal, hogy a különböző vizsgálati populációk között előfordulhatnak különbségek a betegség súlyosságát illetően. Ezen túlmenően a válaszértékelési időpontok is eltértek a vizsgálatok között, ami szintén hozzájárult a heterogenitás növekedéséhez. A refrakter alpopulációra vonatkozó elemzés elmaradt, mivel a rozanolixizumab vizsgálati protokolljában nem szerepelt előre meghatározott refrakter alpopuláció, így egy ilyen elemzés további bizonytalanságot hozott volna be. Az összesített és a refrakter populációk közötti hasonló eredmények alapján azonban feltételezhető, hogy az összesített populáció megfelelően tükrözi a refrakter betegek állapotát is. Ezzel szemben az efgartigimod esetében nem álltak rendelkezésre refrakter alpopulációval kapcsolatos adatok, mivel az ADAPT vizsgálatban nem történt a refrakter és nem refrakter populációk különválasztása.

Az abszolút kockázat-csökkenést jellemző minimálisan szükséges kezelési idő /betegszám kiszámítása a klinikai többletelőny meglétének nem igazolható volta miatt nem releváns

4.2. Az egészség-gazdaságtani elemzésben felhasznált klinikai bizonyítékok

Az egészség-gazdasági elemzésben az NMA eredményeit használták fel.

5. Egészség-gazdaságtani bizonyítékok összefoglalása

5.1. Egészség-gazdaságtani elemzés célja és típusa

A társadalombiztosítási támogatási kérelemhez egy költség-hasznossági típusú teljeskörű gazdasági elemzés készült, melyben a rozanolixizumab terápia alapesetben az efgartigimod, illetve az eculizumab terápiával kerül összevetésre. A gazdasági elemzés alapja egy globális egészség-gazdaságtani modell hazai körülményekre adaptált változata. Az elemzés két hetes ciklusokban 48 éves időtávval, tehát a betegkör életkorát is figyelembe véve élethosszig tartóan számol.

A gazdasági elemzést a forgalomba hozatali engedélyben is szereplő, MycarinG vizsgálat mintáját alapul véve készítették el az AchR+ vagy MuSK+ szerotípusába tartozó betegek alcsoportjára külön-külön.

5.2. Egészség-gazdaságtani elemzés bemeneti paraméterei és feltételezései

Az elemzésben vizsgált eljárások hatásossági adatainak bemeneti adatai a rozanolixizumabot az efgartigimod-alfa és az eculizumab összevető MycarinG vizsgálatokból, a hasznossági adatok az előbbi, az engedélyezés alapjául is szolgáló vizsgálatból és szekunder forrásokból, az erőforrás-felhasználási mintázatok finanszírozói adatbázis-elemzésekből származnak. A további gyógyszeres kezelés költségei részben hazai, finanszírozói adatforrásokból származnak.

5.3. Egészség-gazdaságtani elemzés eredménye és értékelése

A Kérelmező által készített egészség-gazdaságtani elemzés a rozanolixizumab terápia esetében többlet-egészségnyereséget és alacsonyabb várható költségeket számszerűsít az eculizumab komparátorral szemben az alapesetben bemutatott 48 éves időtávon. Ennek megfelelően a rozanolixizumab terápia alapesetben számított ICER-e alacsonyabb, mint a kérelmezett készítmény esetén releváns, az egy főre jutó GDP háromszorosában meghatározott küszöbértéke.

A rozanolixizumab terápia által elért többlet-egészségnyereség forrása döntően a folyamatos válasz/ ≥ 4 pontos CFB MG-ADL állapotában eltöltött idő; a várható megtakarítások forrása pedig döntően a rozanolixizumab gyógyszer akvizíciós költségei.

A Kérelmező által készített egészség-gazdaságtani elemzés a rozanolixizumab terápia esetében többlet-egészségnyereséget és alacsonyabb várható költségeket számszerűsít az efgartigimod komparátorral szemben az alapesetben bemutatott 48 éves időtávon. Ennek megfelelően a rozanolixizumab terápia alapesetben számított ICER-e alacsonyabb, mint a kérelmezett készítmény esetén releváns, az egy főre jutó GDP háromszorosában meghatározott küszöbértéke.

A rozanolixizumab terápia által elért többlet-egészségnyereség forrása döntően a folyamatos válasz/ ≥ 4 pontos CFB MG-ADL állapotában eltöltött idő; a várható megtakarítások forrása pedig döntően a rozanolixizumab gyógyszer akvizíciós költségei.

6. Betegszám és költségvetési hatás nagysága

6.1. Becsült betegszám

A Kérelmező a betegszám becslésére, a teljes MG populáció meghatározásához NEAK betegszám adatokat használt. A Mestinon 60 mg filmtabletta forgalmi adatai alapján a betegszám a teljes MG populáción belül az 1., 2., 3., és 4. év végére 113-113-114-114 főre tehető, amelyből támogató döntés esetén a Ristyggo részére, a piaci felfutást is figyelembe véve a döntést követő évekre rendre XXX-XXX főre tehető.

6.2. Az összehasonlításra kerülő terápiák költsége

A költségvetési hatás elemzésben a rozanolixizumab listaáron számított bruttó nagykereskedelmi ára XXX Ft (az 1x2 ml kiszerelésnek) illetve XXX Ft (az 1x3 ml kiszerelésnek), ciklusonkénti költsége XXX Ft, mely a gyógyszerkészítmény adagolásával együttjárva fokozatosan 0 Ft-ra csökken. Az MycarinG vizsgálatban felvett medián kezeléssel töltött idő alapján számított adagolás mellett a gyógyszeres kezelés várható költsége az első évben rozanolixizumab esetén XXX Ft. Az eculizumab gyógyszeres kezelés költsége évente XXX Ft. Az efgartigimod gyógyszeres kezelés költsége évente XXX Ft.

6.3. Költségvetési hatás

A Kérelmező által várt, támogatott áron számított, a rozanolixizumab terápia összegzett bruttó költségvetési hatása XXX Ft, XXX Ft, XXX Ft, XXX Ft a befogadói döntést követő 1., 2., 3., 4. évben. Az eculizumab és az efgartigimod komparátor költségeit is figyelembe vevő nettó költségvetési hatás XXX Ft, XXX Ft, XXX Ft, XXX Ft.

7. A benyújtott elemzés limitációi

Az elkészített elemzések eredményeit ugyan nem befolyásolja, de annak relevanciáját érintheti, hogy a Kérelmező a TéF által javasolt és publikusan elérhető Strukturált Kérelmezői Sablon helyett saját dokumentumsablont használt a klinikai és egészség-gazdaságtani elemzések elkészítéséhez. A Technológia-értékelő Főosztály kerülendő gyakorlatnak tartja a Strukturált Kérelmezői Sablontól eltérő dokumentumsablon használatát, mert az növeli az elemzések közötti heterogenitást, és nehezíti a kritikai értékelési módszertan alkalmazását.

7.1. Orvosszakmai limitációk

A relatív hatásossági adatok indirekt összehasonlításból származnak, az elemzés komparátoraival szemben az

- MG-ADL
- QMG
- MG-ADL változás
- QMG változás
- MGC változás
- MG-QoL-15 (életminőség)

végpontokon szignifikáns különbség nem tapasztalható, így a klinikai többletelőny megléte nem igazolható.

A **TéF megjegyzi**, hogy a beadvány struktúrája és minősége nem teljesen felel meg a szakmai elvárásoknak. Számos helyen a táblázatokban megadott végpontok nevesítése helyett a

célpopuláció szerepel, továbbá a nehezen értelmezhető, nyelvtanilag és tartalmilag nem megfelelő mondatok lényegesen nehezítik a beadvány értékelését.

A komparátorok kiválasztásának indoklása ugyancsak nem megfelelő, hiszen a szakmai szempontok nincsenek részletezve.

A beadvány egy nem publikált, nem végleges (javításokat, megjegyzéseket tartalmazó) hálózatos meta-analízisre épült, amelyben a klinikai vizsgálatok szisztémás irodalmi áttekintése egy másik közleményben szerepel, amelyet a kérelmező nem csatolt a beadványhoz.

A TéF megjegyzi, hogy az NMA megvalósíthatóságának értékelése ugyancsak egy másik közleményben szerepel, amelyet a kérelmező nem csatolt a beadványhoz.

A primer analízisben és a szenzitivitási analízisben szereplő arányszámok kiszámításának metodikája szintén nincs megadva az NMA-ban.

A statisztikai módszerek bemutatásánál nem a kérelem alapját képező statisztikai módszerek szerepelnek, hanem a rozanolixizumab-bal végzett MycarinG vizsgálatban alkalmazott statisztikai módszerek.

A kérelem tárgyát képező rozanolixizumab esetében nem érhetőek el az MG-QoL-15 kérdőív alapján értékelt életminőségre vonatkozó adatok.

A ravulizumab (CHAMPION MG) és a rituximab esetében nem áll rendelkezésre az életminőségre vonatkozó adat a 12. héten, hanem csak a 26. és az 52. heteken.

A rozanolixizumab (MycarinG) esetében nem áll rendelkezésre az MGC pontszámokra vonatkozó adat a 12. héten, hanem csak a 43. napon.

A kérelmező nem részletezi a rendelkezésre álló szakmai irányelvek alapján a rozanolixizumab készítmény terápiában elfoglalt lehetséges helyét.

A jelenlegi irányelvek nem konkretizálják, hogy a végpontokon vizsgált paraméterek, nevezetesen az MG-ADL és a QMG pontosan milyen pontértékkel jellemzik a magas betegaktivitást, illetve a terápiarefrakter állapotot.

A hálózatos meta-analízisbe (NMA) bevont vizsgálatok egymáshoz képest nagy heterogenitást mutattak, amely az eredmények torzítását okozhatja. A heterogenitás az alapállapotú jellemzőkben, például az elsődleges végpontnak választott MG-ADL pontszámok alapértékeiben is megfigyelhető, ami arra utal, hogy a különböző vizsgálati populációk között előfordulhatnak különbségek a betegség súlyosságát illetően. Ezen túlmenően a válaszértékelési időpontok is eltértek a vizsgálatok között, ami szintén hozzájárult a heterogenitás növekedéséhez. A refrakter alpopulációra vonatkozó elemzés elmaradt, mivel a rozanolixizumab vizsgálati protokolljában nem szerepelt előre meghatározott refrakter alpopuláció, így egy ilyen elemzés további bizonytalanságot hozott volna be. Az összesített és a refrakter populációk közötti hasonló eredmények alapján azonban feltételezhető, hogy az összesített populáció megfelelően tükrözi a refrakter betegek állapotát is. Ezzel szemben az efgartigimod esetében nem álltak rendelkezésre refrakter alpopulációval kapcsolatos adatok, mivel az ADAPT vizsgálatban nem történt a refrakter és nem refrakter populációk különválasztása.

7.2. Egészség-gazdaságtani limitációk

Az egészség-gazdaságtani elemzés limitációja, hogy a támogatási kérelem részeként benyújtott klinikai elemzés, valamint a bemutatott klinikai bizonyítékok alapján az elemzés hatókörében a vizsgált beavatkozás nyújtotta klinikai többletelőny megléte nem igazolható.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a Kérelmező által választott komparátorok (az eculizumab és az efgartigimod terápia) jelenleg nem támogatott, így a legutóbb érvényes egészség-gazdaságtani irányelvnek megfelelően ez az elemzés nem segíti a döntés-előkészítést. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a nem megfelelő komparátor egy nem számszerűsíthető, az inkrementális költségeket és inkrementális egészségnyereséget befolyásoló bizonytalansági tényező, mely jelentős

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a benyújtott CEM modellben az időtáv 48 év, amely a várható élettartamon túl becsüli az egészségnyereségeket és a költségeket. Az egészség-gazdaságtani modellben az időtáv egy jól számszerűsíthető, az inkrementális költségeket, és az egészségnyereséget befolyásoló bizonytalansági tényező, mely nem jelentős

8. Nemzetközi kitekintés

A francia HAS 2024.05.17.-én publikált közleményében a rozanolixizumab hatóanyagtartalmú Rystiggo csekély mértékű klinikai többletelőnnyel rendelkezik. A Rystiggo alkalmazható a standard terápia mellett generalizált AchR+ és/vagy MuSK+ myasthenia gravis kezelésében, olyan betegeknél, ahol a tünetek továbbra is fennállnak az immunszuppresszáns standard kezelés mellett. A rozanolixizumab előnye a jelenleg fellelhető immunszuppresszánsokkal szemben nem állapítható meg egyértelműen, ugyanis direkt összehasonlító vizsgálatok nem állnak rendelkezésre, amely a Rystiggo hatékonyságát és biztonságosságát hasonlítja össze a többi immunszuppresszáns készítménnyel, mint pl. rituximabbal, illetve a második vagy magasabb vonalbeli immunszuppresszív terápiákkal pl. SOLIRIS [ekulizumab], VYVGART [efgartigimod alfa], ULTOMIRIS [ravulizumab] és ZILBRYSQ [zilucoplan]).

A német IQWiG 2024.03.01.-én közzétett állásfoglalása alapján a Rystiggo, mint orphan drug esetében automatikusan klinikai hozzáadott előnyt feltételez és továbbiakban a kérelemben beadott dokumentumok alapján kívánja végezni az értékelést. Végző konklúzió jelenleg nem lelhető fel a HTA iroda honlapján.

Az angol NICE 2024.09.12.-én publikált közleménye szerint a rozanolixizumab nem ajánlott kiegészítő kezelésként az alapkezelés mellett azoknak a felnőtteknek, akik acetilkolin-receptor (anti-AChR) vagy izomspecifikus tirozin-kináz (anti-MuSK) antitestekkel rendelkeznek, és generalizált myasthenia gravisban (gMG) szenvednek. A bizottság szerint a gyógyszergyártó költséghatékonysági becslései nagy bizonytalanságot hordoznak, és valószínű, hogy azok meghaladják a NICE által az NHS számára elfogadott költséghatékonysági szintet. A skót SMC HTA iroda 2025.01.13-án publikált közleményében a készítmény forgalomba hozatali engedéllyel rendelkező vállalata jelezte, hogy a jövőben tervezi a kérelme benyújtását az SMC-hez, de jelenleg még nem történt meg a kérelem benyújtása.

9. Konklúzió

A klinikai bizonyítékokon alapuló többletelőny mértékének TéF által javasolt besorolása szerint a rozanolixizumab terápia nyújtotta klinikai többletelőny *megléte* nem megállapítható az efgartigimod-alfa és az ekulizumab terápia komparátorokhoz viszonyítva, a klinikailag relevánsnak tekinthető kezelésre adott válasz az MG-ADL skála alapján értékelve végponton.

Ezt alacsony evidencia szintű, indirekt összehasonlításból származó orvosszakmai bizonyítékok támasztják alá.

A kérelmezett készítmény nem tekinthető hiánypótlónak, azonban meghatározott célcsoport esetén többletelőnyt nyújthat a jelenlegi terápiákhoz képest (MuSK+ betegpopuláció).

A rendelkezésre álló egészség-gazdaságtani bizonyítékok alapján a Rystiggo alkalmazásával költségmegtakarítás és többlet-egészségnyereség számszerűsített az eculizumab és az efgartigimod komparátorokkal szemben, azonban a költség-hasznossági elemzés az igazolt klinikai többletelőny hiányában nem tekinthető megfelelően megalapozottnak. A benyújtott elemzés alapján az eculizumab és az efgartigimod komparátorokkal szemben a technológia hazai körülmények között a kérelmezett listaáron költséghatékony. A Rystiggo társadalombiztosítási támogatásba vétele egyértelműen támogatáskiáramlást eredményez a finanszírozó részére.

Jelen beadvány következtetéseinek döntéshozatali célú felhasználhatósága korlátozott az alábbi okok miatt:

- a klinikai többletelőny megléte nem bizonyítható,
- a választott komparátorok nem támogatottak,
- az időtáv.

Befogadása esetén javasolt az eredményességi és biztonságossági adatok szisztematikus gyűjtése (pl. regiszter formájában).

A technológiaértékelés felülvizsgálata javasolt a hatásosságra és biztonságosságra vonatkozó új adatok elérhetővé válásakor a legfrissebb bizonyítékok felhasználásával.