

G-BA-Beschluss

Efgartigimod alfa (Myasthenia gravis, AChR-Antikörper+)

Dr. Maja M. Christ, Stuttgart

Wie lautet die Zulassung?

Efgartigimod alfa (Vyvgart®, Argenx) ist – als Add-on zur Standardtherapie – zur Behandlung erwachsener, Anti-Acetylcholin-Rezeptor-Antikörper-positiver Patienten mit generalisierter Myasthenia gravis (gMG, AChR⁺) zugelassen (**Kasten**).

Wie lautet der Beschluss des G-BA?

Der G-BA sieht für Efgartigimod alfa zusätzlich zur Standardtherapie einen *Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen*.

Was war die zweckmäßige Vergleichstherapie?

Da Efgartigimod alfa als Arzneimittel zur Behandlung eines Seltenen Leidens zugelassen ist, gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden.

Wie ist die Studienlage?

Die Wirksamkeit von Efgartigimod alfa wurde in der 26-wöchigen, multizentrischen, randomisierten, doppelblinden, Placebo-kontrollierten Phase-III-Studie ADAPT untersucht. Entsprechend dem zugelassenen Anwendungsgebiet wurden für die vorliegende Nutzenbewertung nur die Ergebnisse der Anti-AChR-Antikörper-positiven Patienten berücksichtigt (Efgartigimod alfa: n=65; Placebo: n=64). In beiden Studienarmen erhielten die Patienten eine Standardtherapie aus Acetylcholin-

esterase (AChE)-Inhibitoren, Glucocorticoiden und/oder nichtsteroidalen Immunsuppressiva. Eculizumab oder Rituximab waren nicht erlaubt. Die Teilnehmer erhielten die Medikation über mindestens einen Behandlungszyklus und je nach individuellem Ansprechen bis zu drei Behandlungszyklen (alle Studienteilnehmer erhielten den ersten Behandlungszyklus, 79 % bzw. 67 % den zweiten und nur noch 11 % bzw. 2 % den dritten). An die Studie schloss sich eine offene, einarmige Extensionsstudie (ADAPT+) an.

Als Endpunkte wurden unter anderem krankheitsspezifische Symptomatik, allgemeiner Gesundheitszustand, gesundheitsbezogene Lebensqualität sowie Nebenwirkungen erfasst.

- **Mortalität:** Es traten keine Todesfälle auf.
- **Morbidität:** Für den ersten Behandlungszyklus ergaben sich sowohl im krankheitsspezifischen als auch im allgemeinen Gesundheitszustand statistisch signifikante Vorteile zugunsten von Efgartigimod alfa gegenüber Placebo.
- **Gesundheitsbezogene Lebensqualität:** Es ergab sich ebenfalls ein Vorteil für Efgartigimod alfa.
- **Nebenwirkungen:** Für Efgartigimod alfa ließ sich gegenüber Placebo, jeweils in Kombination mit der Standardtherapie, weder ein Vor- noch ein Nachteil feststellen.

Warum hat der G-BA so entschieden?

Unsicherheiten ergeben sich vor allem aus dem kurzen Beobach-

tungszeitraum der herangezogenen Daten. Mit Ausnahme eines Morbiditäts-Endpunktes, der einen Vorteil der myasthenen Symptomatik über 20 Wochen zeigte, beziehen sich die Endpunkte zur Morbidität und Lebensqualität auf den ersten Behandlungszyklus, also auf eine Beobachtungsdauer von acht Wochen. Um die Nachhaltigkeit der Effekte abbilden zu können, hätte der G-BA bewertbare Daten über einen längeren Beobachtungszeitraum benötigt. Darüber hinaus bestehen Unsicherheiten, ob und in welchem Umfang therapierefraktäre Patienten von der Studienpopulation erfasst sind. In der Gesamtschau wird ein *Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen* für Efgartigimod alfa zusätzlich zur Standardtherapie festgestellt.

Kosten

Die Jahrestherapiekosten für Efgartigimod alfa gibt der G-BA mit 68 750–508 751 Euro pro Patient an, zuzüglich der Kosten für die Standardtherapie.

Quellen

Gemeinsamer Bundesausschuss. Beschluss. Efgartigimod alfa (Myasthenia gravis, AChR-Antikörper+) vom 16. Februar 2023.

Gemeinsamer Bundesausschuss. Tragende Gründe zum Beschluss. Efgartigimod alfa (Myasthenia gravis, AChR-Antikörper+) vom 16. Februar 2023.

**Es stand in der AMT**

Efgartigimod alfa – Fc-Fragment des humanen rekombinanten Immunglobulins G1 zur Therapie bei Myasthenia gravis. Arzneimitteltherapie 2022;40:396–9.