MINISTERUL SĂNĂTĂȚII
AGENȚIA NAȚIONALĂ A MEDICAMENTULUI ȘI A DISPOZITIVELOR MEDICALE DIN ROMÂNIA
Str. Av. Sănătescu nr. 48, Sector 1, 011478 București
Tel: +4021-317.11.00
Fax: +4021-316.34.97
www.anm.ro

RAPORT DE EVALUARE A TEHNOLOGIILOR MEDICALE

DCI: EFGARTIGIMODUM ALFA

INDICAȚIE: Vyvgart este indicat ca terapie adăugată la terapia standard la pacienții adulți cu Miastenia gravis generalizată (gMG) cu anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR)

Data depunerii dosarului	**10.03.2026**
Numărul dosarului	**17481**

Adăugarea unei noi concentrații în indicația de tratament a Miasteniei gravis generalizate

MINISTERUL SĂNĂTĂȚII
AGENȚIA NAȚIONALĂ A MEDICAMENTULUI
ȘI A DISPOZITIVELOR MEDICALE DIN ROMÂNIA
Str. Av. Sănătescu nr. 48, Sector 1, 011478 București
Tel: +4021-317.11.00
Fax: +4021-316.34.97
www.anm.ro

1. DATE GENERALE

1.1. DCI: Efgartigimodum Alfa

1.2. DC: Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută

1.3 Cod ATC: L04AA58

1.4 Data eliberării APP: 10 august 2022

1.5. Deținătorul de APP: ARGENX BV, Belgia

1.6. Tip DCI: DCI cunoscut

1.7. Forma farmaceutică, concentrație, calea de administrare, mărimea ambalajului:

Forma farmaceutică	***soluție injectabilă***
Concentrație	***200mg/ml***
Calea de administrare	***subcutanată***
Mărimea ambalajului	***cutie cu 1 seringă preumplută x 5ml sol. inj.***

1.8. Preț aprobat conform avizului Ministerului Sănătății nr. P131 din 05.03.2026, eliberat în baza notei AFR 5294/08.09.2025

Prețul cu amănuntul maximal cu TVA, pe ambalaj	*67905.35 lei*
Prețul cu amănuntul pe unitatea terapeutică	*67905.35 lei*

1.9. Indicația terapeutică și doza de administrare conform RCP Vyvgart

Indicație terapeutică: Vyvgart este indicat ca terapie adăugată la terapia standard la pacienții adulți cu Miastenia gravis generalizată (gMG) cu anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR).

Doze și mod de administrare

Primul ciclu de tratament și prima administrare a celui de-al doilea ciclu de tratament trebuie administrate de către sau sub supravegherea unui profesionist din domeniul sănătății. Tratamentele ulterioare trebuie administrate de un profesionist din domeniul sănătății sau pot fi administrate la domiciliu de către un pacient sau un îngrijitor după o instruire corepsunzătoare privind tehnica de injectare subcutanată.

Doza recomandată este de 1000 mg care va fi administrată subcutanat în cicluri de injectare o dată pe săptămână timp de 4 săptămâni. Tratamentele ulterioare trebuie administrate conform evaluării clinice.

Frecvența ciclurilor de tratament poate varia în funcție de pacient.

În cadrul programului de dezvoltare clinică, cel mai devreme moment pentru inițierea următorului ciclu de tratament a fost după 7 săptămâni de la prima perfuzie din ciclul anterior.

La pacienții cărora în prezent li se administrează efgartigimod alfa intravenos, soluția pentru injectare subcutanată poate fi folosită ca alternativă. Nu sunt disponibile date privind siguranța și eficacitatea la pacienții care schimbă formulările în timpul aceluiași ciclu.

OBSERVAȚII: Medicamentul Vyvgart are statut de medicament orfan, care expiră la data de 11 August 2032.

În prezent, medicamentul cu DCI Efgartigimodum Alfa și DC Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă, respectiv DC Vyvgart 1 000 mg soluție injectabilă (de concentrație 180mg/ml) este rambursat pentru indicația menționată la punctul 1.9.

Precizăm că la data întocmirii acestui raport, medicamentul cu DC Vyvgart 1 000 mg soluție injectabilă nu este inclus în listele denumirilor comerciale aferente DCI compensate publicate pe site-ul CNAS și nu este inclus în CANAMED, versiunea cu ultima actualizare din data de **16.06.2026.** Prin urmare, la data întocmirii acestui raport, medicamentul cu DC Vyvgart 1 000 mg soluție injectabilă nu poate fi prescrisă în regim compensat.

Reprezentantul Deținătorului Autorizației de Punere pe Piață în România, compania Medison Pharma SRL a precizat în documentația depusă aferentă dosarului pentru care s-a elaborat prezentul raport că din motive comerciale, DAPP intenționează să pună pe piață doar forma de ambalare **seringă preumplută**, deoarece aceasta asigură pacienților avantajul administrării unei doze precise, premăsurate, reducerea erorilor de dozare și medicație și reducerea riscului de contaminare microbiană.

Grupe speciale de pacienți

- **Vârstnici:** La pacienții cu vârsta de cel puțin 65 de ani nu este necesară ajustarea dozei.
- **Insuficienţă renală:** La pacienții cu insuficiență renală ușoară sunt disponibile date limitate privind siguranța și eficacitatea; nu este necesară ajustarea dozei pentru pacienții cu insuficiență renală ușoară. Există date foarte limitate privind siguranța și eficacitatea la pacienții cu insuficiență renală moderată sau severă și cu insuficiență renală severă.
- **Insuficienţă hepatică:** Nu sunt disponibile date la pacienții cu insuficiență hepatică. La pacienții cu insuficiență hepatică nu este necesară ajustarea dozei.
- **Copii şi adolescenţi:** Siguranța și eficacitatea efgartigimod alfa la copii și adolescenți nu au fost încă stabilite. Nu sunt disponibile date.

Mod de administrare: Acest medicament trebuie administrat numai prin injecție subcutanată. A nu se administra intravenos.

După scoaterea seringii preumplute din frigider, așteptați cel puțin 30 de minute înainte de injectare pentru a permite soluției să ajungă la temperatura camerei. Un ac de siguranță, care nu este inclus în cutie, trebuie conectat la

seringa preumplută. Folosiți tehnica aseptică la manipularea seringii preumplute și în timpul administrării. Nu scuturați seringa preumplută.

În timpul administrării inițiale cu efgartigimod alfa, tratamentul corespunzător pentru reacții legate de injecție și hipersensibilitate trebuie să fie ușor accesibil. Locurile de injectare recomandate (abdomen) trebuie să fie în rotație, iar injecțiile nu trebuie administrate niciodată în alunițe, cicatrici sau zone în care pielea este sensibilă, învinețită, roșie sau tare.

Medicamentul trebuie injectat în aproximativ 20 până la 30 de secunde. Injecția poate fi încetinită dacă pacientul se confruntă cu disconfort.

Prima autoadministrare trebuie să fie efectuată întotdeauna sub supravegherea unui profesionist din domeniul sănătății. După o instruire corespunzătoare privins tehnica de injectare subcutanată, pacienții sau îngrijitorii pot injecta medicamentul la domiciliu dacă un profesionist din domeniul sănătății determină că este adecvat. Pacienții sau îngrijitorii trebuie instruiți privind injectarea Vyvgart conform indicațiilor oferite în prospect.

Contraindicații: Hipersensibilitate la substanța activă sau la oricare dintre excipienții enumerați la pct. 6.1. din RCP.

Mecanism de acțiune: Efgartigimod alfa este un fragment de anticorp uman IgG1 realizat pentru creșterea afinității la receptorul Fc neonatal (FcRn). Efgartigimod alfa se leagă la FcRn, care determină o scădere a titrurilor de anticorpi IgG circulanți, inclusiv anticorpi IgG patogeni. Efgartigimod alfa nu afectează valorile altor imunoglobuline (IgA, IgD, IgE sau IgM) și nu le reduce pe cele ale albuminei.

Autoanticorpii IgG sunt cauza subiacentă a patogenezei bolilor autoimune mediate de IgG. În cazul MG, aceștia afectează transmiterea neuromusculară prin legarea la receptorii de acetilcolină (AChR), tirozin kinaza musculară (MuSK) sau proteina 4 asociată cu receptorul lipoproteinei (LRP4).

PRECIZARE SETS PRIVIND CRITERIILE DE EVALUARE SOLICITATE

Reprezentantul Deținătorului Autorizației de Punere pe Piață în România, compania Medison Pharma SRL, a solicitat evaluarea dosarului depus pentru medicamentul cu DCI Efgartigimodum Alfa, respectiv DC Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută cu indicația terapeutică: ,,*ca terapie adăugată la terapia standard la pacienții adulți cu Miastenia gravis generalizată (gMG) cu anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR)"* prin aplicarea criteriilor de evaluare corespunzătoare Tabelului nr. 1 din O.M.S. nr. 861/2014 cu modificările și completările ulterioare -,,*Criteriile pentru adăugarea unei DCI compensate,,* respectiv adăugarea unei noi concentrații.

MINISTERUL SĂNĂTĂȚII
AGENȚIA NAȚIONALĂ A MEDICAMENTULUI
ȘI A DISPOZITIVELOR MEDICALE DIN ROMÂNIA
Str. Av. Sănătescu nr. 48, Sector 1, 011478 București
Tel: +4021-317.11.00
Fax: +4021-316.34.97
www.anm.ro

2. ANALIZA DE IMPACT FINANCIAR

În conformitate cu prevederile Notei 2 din subsolul Tabelului nr. 1 la ordin, pentru emiterea deciziei de adăugare în Listă a unei noi concentrații pentru medicamentul cu DCI rambursată, este necesar ca analiza de impact financiar să evidențieze un impact negativ sau neutru comparativ cu comparatorul.

Comparatorul este reprezentat de medicamentul cu forma farmaceutică sau concentrația corespunzătoare DCI deja compensată și inclusă în Listă în baza evaluării tehnologiilor medicale, în aceeași indicație, respectiv Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă.

Analiza de impact financiar se realizează în conformitate cu metodologia prevăzută în Anexa nr. 2 la ordin, Partea I, Cap. A, punctul 23, nota 1 – costul terapiei. Costul terapiei se calculează utilizând prețul cu amănuntul maximal cu TVA, conform Catalogului național al prețurilor medicamentelor de uz uman (CANAMED), aprobat la data evaluării sau aprobat de Ministerul Sănătății prin aviz intern de preț, cu valoarea în vigoare la data evaluării. Calculul se efectuează în funcție de dozele și durata administrării prevăzute în RCP, pentru un an calendaristic, per pacient.

Costul terapiei se determină pe baza dozei recomandate a comparatorului care are aceeași indicație aprobată și se adresează aceluiași segment populațional ca medicamentul evaluat.

Calculul comparativ al costurilor terapiei

Calculul terapiei pentru Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă

Conform RCP: ,,*Doza recomandată pentru medicamentul Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă este de 10 mg/kg sub formă de perfuzie intravenoasă care va fi administrată în cicluri de perfuzare o dată pe săptămână timp de 4 săptămâni. Ciclurile de tratament ulterioare trebuie administrate conform evaluării clinice. Frecvența ciclurilor de tratament poate varia în funcție de pacient.*

În cadrul programului de dezvoltare clinică, cel mai devreme moment pentru inițierea următorului ciclu de tratament a fost după 7 săptămâni de la prima perfuzie din ciclul anterior.

La pacienții cu o greutate de 120 kg sau mai mare, doza recomandată este de 1200 mg (3 flacoane) pe perfuzie".

Pentru 1 adult de 70 de kg, pentru doza de 10 mg/kg sunt necesare 2 flacoane de *Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă*.*

**Notă: Conform RCP: Fiecare flacon de 20 ml conține efgartigimod alfa 400 mg (20 mg/ml).*

Conform CANAMED, prețul cu amănuntul maximal cu TVA, pe ambalaj pentru Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă este 39331,65 lei/flacon.

Dacă luăm în considerare că pentru 4 săptămâni de tratament cu câte 2 flacoane per saptămână, urmate de 3 săptămâni pauză, prețul terapiei este corespunzător unui număr de 8 flacoane, respectiv 314.653,2 lei (8X 39331,65 lei), atunci costul terapiei pentru 52 de săptămâni cu Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă este de **2.337.423,77 lei** (314.653,2 x 52/7 lei).

Calculul terapiei pentru Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută

Conform RCP: ,, *Doza recomandată este de 1000 mg care va fi administrată subcutanat în cicluri de injectare o dată pe săptămână timp de 4 săptămâni. Tratamentele ulterioare trebuie administrate conform evaluării clinice.*

Frecvența ciclurilor de tratament poate varia în funcție de pacient.

În cadrul programului de dezvoltare clinică, cel mai devreme moment pentru inițierea următorului ciclu de tratament a fost după 7 săptămâni de la prima perfuzie din ciclul anterior."

Conform avizului de preț eliberat de MS, prețul cu amănuntul maximal cu TVA pe ambalaj pentru Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută este 67905.35 lei/seringă.

Prin urmare, dacă luăm în considerare că pentru 4 săptămâni de tratament urmate de 3 săptămâni pauză, prețul terapiei este corespunzător unui număr de 4 seringi, respectiv **271.621,4 lei** (4 x 67905.35 lei), atunci costul terapiei pentru 52 de săptămâni cu Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută este **2.017.758,97 lei** (271.621,4 x 52/7 lei).

Prin urmare, impactul financiar produs de terapia cu Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută, de concentrație 200mg/ml versus terapia cu Vyvgart 20 mg/ml concentrat pentru soluție perfuzabilă este negativ, respectiv -13,67%.

Având în vedere faptul că în CANAMED (OMS nr. 5994/2024 cu modificările și completările ulterioare) cu ultima actualizare din data de 16.06.2026 nu este inclus prețul medicamentului cu DC Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă, de concentrație 180mg/ml nu a fost efectuat calculul comparativ al terapiilor cu Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă versus Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută.

3. STATUTUL DE RAMBURSARE A MEDICAMENTULUI CU DCI EFGARTIGIMODUM ALFA

În prezent, medicamentul cu DCI Efgartigimodum Alfa este inclus în HG nr. 720/2008 cu modificările și completările ulterioare, fiind poziționat la nr. 5 din cadrul G13 Miastenia gravis, din Secţiunea C1 ,,*DCI-uri corespunzătoare medicamentelor de care beneficiază asiguraţii în tratamentul ambulatoriu al unor grupe de boli în regim de compensare*

100% din preţul de referinţă" parte a *Sublistei C* ,,DCI-uri corespunzătoare medicamentelor de care beneficiază asiguraţii în regim de compensare 100%". Medicamentul are alocate simbolurile ,,**1".

Protocolul de prescriere în regim de rambursare pentru DCI Efgartigimodum Alfa inclus în OMS/CNAS nr. 564/499/2021 cu modificările și completările ulterioare este redat în cele ce urmează:

,, Protocol terapeutic corespunzător poziţiei nr. 382, cod (L04AA58): DCI EFGARTIGIMODUM ALFA

I. Indicaţie
Efgartigimodum Alfa este indicat ca terapie adăugată la terapia standard la pacienţii adulţi cu Miastenia gravis generalizată (gMG) cu anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR).

II. Criterii de includere:
- vârsta >18 ani
- diagnostic de miastenia gravis forma generalizată (gMG)
- clasificare MGFA II-IV
- anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR)
- pacient aflat în tratament sau tratat anterior cu cel puţin o terapie standard (corticosteroizi sau imunosupresoare non-steroidiene) sau pacient care prezintă contraindicaţii, intoleranţă ori reacţii adverse care impun întreruperea terapiei standard.

III. Criterii de excludere:
- miastenia gravis forma oculară clasificare MGFA I
- lipsă anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR)
- tratament cu imunoglobuline umane cu administrare intravenoasă sau schimb plasmatic/plasmaferează în ultima lună
- lipsa unui tratament convenţional anterior administrării terapiei cu Efgartigimodum Alfa.

IV. Tratament:
Evaluare pre-terapeutică
a. Examen clinic neurologic complet
b. Examen clinic (şi paraclinic unde este necesar) prin scalele QMG, MMT, MG-QoL15r
c. Aplicare a chestionarului MG-ADL (anterior fiecărei infuzii)
d. Analize serologice: hemoleucogramă completă, glicemie, uree, creatinină, AST, ALT, CK, CKMB, CRP, sumar de urină înainte de infuzia 1 din fiecare ciclu de tratament

Doze:
Tratamentul cu Efgartigimodum Alfa trebuie administrat de către un profesionist din domeniul sănătăţii şi sub supravegherea unui medic experimentat în abordarea terapeutică a pacienţilor cu tulburări neuromusculare.
Forme de prezentare:
Formula intravenoasă: Efgartigimodum Alfa 20 mg/ml concentrat pentru soluţie perfuzabilă.
Fiecare flacon de 20 ml conţine Efgartigimodum Alfa 400 mg (20 mg/ml).
Formula injectabilă: Efgartigimodum Alfa 1000 mg soluţie injectabilă.
Fiecare flacon conţine Efgartigimodum Alfa 1000 mg în 5,6 ml (180 mg/ml).
Formula intravenoasă.
Doza recomandată este de 10 mg/kg sub formă de perfuzie intravenoasă care va fi administrată în cicluri de perfuzare o dată pe săptămână timp de 4 săptămâni. Ciclurile de tratament ulterioare trebuie administrate conform evaluării clinice. Evaluarea clinică se recomandă la cel mult 4 săptămâni după încheierea fiecărui ciclu de tratament. Frecvenţa ciclurilor de tratament poate varia în funcţie de pacient.
La pacienţii cu o greutate de 120 kg sau mai mare, doza recomandată este de 1200 mg (3 flacoane) pe perfuzie
Formula injectabilă.
Primul ciclu de tratament şi prima administrare a celui de al doilea ciclu de tratament trebuie administrate de către sau sub supravegherea unui profesionist din domeniul sănătăţii. Tratamentele ulterioare trebuie administrate de un profesionist din domeniul sănătăţii sau pot fi administrate la domiciliu de către un pacient sau de către persoana care îl îngrijeşte după o instruire corespunzătoare privind tehnica de injectare subcutanată.
Doza recomandată este de 1000 mg care va fi administrată subcutanat în cicluri de injectare o dată pe săptămână timp de 4 săptămâni. Tratamentele ulterioare trebuie administrate conform evaluării clinice. Frecvenţa ciclurilor de tratament poate varia în funcţie de pacient.
În cadrul programului de dezvoltare clinică, cel mai devreme moment pentru iniţierea următorului ciclu de tratament a fost după 7 săptămâni de la prima perfuzie din ciclul anterior.
La pacienţii cărora în prezent li se administrează Efgartigimodum Alfa intravenos, soluţia pentru injectare subcutanată poate fi folosită ca alternativă. Nu sunt disponibile date privind siguranţa şi eficacitatea la pacienţii care schimbă formulările în timpul aceluiaşi ciclu.

Doză omisă
Trebuie respectat un interval de cel puţin 3 zile între două administrări consecutive. Atunci când administrările nu pot fi efectuate la momentul programat, acestea trebuie efectuate cât mai curând posibil şi cu cel puţin 3 zile înainte de următoarea administrare. Dacă mai sunt mai puţin de 3 zile până la următoarea administrare, doza omisă nu mai trebuie administrată şi următoarea doză trebuie administrată la momentul programat.

Efgartigimodum Alfa - Mod de administrare
Forme de prezentare:
Formula intravenoasă: Efgartigimodum Alfa 20 mg/ml concentrat pentru soluţie perfuzabilă.
Fiecare flacon de 20 ml conţine Efgartigimodum Alfa 400 mg (20 mg/ml).
Formula injectabilă: Efgartigimodum Alfa 1000 mg soluţie injectabilă.
Fiecare flacon conţine Efgartigimodum Alfa 1000 mg în 5,6 ml (180 mg/ml).
Formula intravenoasă.
Acest medicament trebuie administrat numai prin perfuzie intravenoasă în decurs de 1 oră.
Înainte de administrare, acesta trebuie diluat cu soluţie injectabilă de clorură de sodiu 9 mg/ml (0,9%)
Folosind formula din tabelul de mai jos, se calculează doza de Efgartigimodum Alfa necesară, în funcţie de greutatea corporală a pacientului la doza recomandată de 10 mg/kg. Pentru pacienţii care cântăresc peste 120 kg, folosiţi o greutate corporală de 120 kg pentru a calcula doza. Doza totală maximă pe perfuzie este 1200 mg. Fiecare flacon conţine 400 mg de Efgartigimodum Alfa la o concentraţie de 20 mg/ml.

Pasul 1 - Calculaţi doza (mg)	*10 mg/kg x greutate (kg)*
Pasul 2 - Calculaţi volumul de concentrat (ml)	*doza (mg) ÷ 20 mg/ml*
Pasul 3 - Calculaţi numărul de flacoane	*volum de concentrat (ml) 20 ml*
Pasul 4 - Calculaţi volumul de soluţie pentru injecţie de clorură de sodiu 9 mg/ml (0,9%) (ml)	*125 ml - volum de concentrat (ml)*

Tratamentul corespunzător pentru reacţii legate de perfuzie şi hipersensibilitate trebuie să fie uşor accesibil înainte de administrarea Efgartigimodum Alfa.
Diluare:
- La o inspecţie vizuală, conţinutul flaconului trebuie să fie limpede spre uşor opalescent, incolor până la uşor gălbui şi fără materii particulate. Dacă observaţi particule vizibile şi/sau dacă lichidul din flacon este decolorat, flaconul nu trebuie utilizat. Nu scuturaţi flacoanele.
- În condiţii aseptice în timpul preparării soluţiei diluate:
• Extrageţi uşor cantitatea necesară de Efgartigimodum Alfa din numărul corespunzător de flacoane cu o seringă şi un ac sterile. Eliminaţi orice cantitate neutilizată din flacoane.
• Transferaţi doza calculată de medicament într-o pungă de perfuzie.
• Diluaţi medicamentul extras prin adăugarea cantităţii calculate de soluţie pentru injecţie de clorură de sodiu 9 mg/ml (0,9%) pentru a ajunge la un volum total de 125 ml.
• Răsturnaţi uşor punga de perfuzie care conţine medicamentul diluat fără a o scutura pentru a asigura o amestecare metodică a medicamentului şi a diluantului.

Administrare:
- Inspectaţi soluţia vizual pentru particule înainte de administrare.
- Perfuzaţi în total 125 ml de medicament diluat în decurs de 1 oră, folosind un filtru de 0,2 µm.
- Administraţi întreaga cantitate de soluţie, amorsând întreaga linie cu soluţie de clorură de sodiu 9 mg/ml (0,9%) pentru injecţie la sfârşit.
- Efgartigimodum Alfa trebuie administrat imediat după diluare, iar perfuzia cu soluţie diluată trebuie finalizată în decurs de 4 ore de diluare.
- Stabilitatea chimică şi fizică în timpul utilizării a fost demonstrată pentru 24 de ore la 2° C până la 8° C. Din punct de vedere microbiologic, medicamentul trebuie utilizat imediat, cu excepţia cazului în care metoda de diluare exclude riscurile de contaminare microbiană.
- Dacă nu este utilizat imediat, duratele şi condiţiile de păstrare în timpul utilizării reprezintă responsabilitatea utilizatorului. A nu se congela. Înainte de administrare, lăsaţi medicamentul diluat să ajungă la temperatura camerei. Încheiaţi perfuzarea în decurs de 4 ore de la scoaterea acesteia din frigider. Medicamentul diluat nu trebuie încălzit în nicio altă manieră decât în aerul ambiental.
- În caz de reacţii la perfuzie, perfuzia trebuie administrată la o viteză de perfuzare mai lentă, întreruptă sau oprită
- În porturile laterale ale perfuziei nu trebuie injectate alte medicamente sau amestecate cu Efgartigimodum Alfa .
Formula injectabilă.
Acest medicament trebuie administrat numai prin injecţie subcutanată. A nu se administra intravenos.
După scoaterea fiolei din frigider, aşteptaţi cel puţin 15 minute înainte de injectare pentru a permite soluţiei să ajungă la temperatura camerei. Folosiţi tehnica aseptică la prepararea şi administrarea soluţiei de medicament. Nu scuturaţi fiola.
Soluţia pentru injecţie poate fi administrată folosind o seringă din polipropilenă, ace de transfer din oţel inoxidabil şi set de perfuzie cu aripioare din clorură de polivinil, cu un volum de amorsare maxim de 0,4 ml.
Extrageţi întregul conţinut de soluţie de Efgartigimodum Alfa din fiolă folosind un ac de transfer.
Schimbaţi acul de pe seringă cu cel de pe setul de perfuzie cu aripioare.
Înainte de administrare, volumul din seringă trebuie ajustat la 5,6 ml.
În timpul administrării iniţiale cu Efgartigimodum Alfa, tratamentul corespunzător pentru reacţii legate de injecţie şi hipersensibilitate trebuie să fie uşor accesibil. Locurile de injectare recomandate (abdomen) trebuie să fie în rotaţie, iar injecţiile nu trebuie administrate niciodată în aluniţe, cicatrici sau zone în care pielea este sensibilă, învineţită, roşie sau tare. Volumul de 5,6 ml trebuie injectat în decurs de 30 până la 90 de secunde. Injecţia poate fi încetinită dacă pacientul se confruntă cu disconfort.
Prima autoadministrare trebuie să fie efectuată întotdeauna sub supravegherea unui profesionist din domeniul sănătăţii. După o instruire corespunzătoare privind tehnica de injectare subcutanată, pacienţii sau îngrijitorii pot injecta medicamentul la domiciliu dacă un profesionist din domeniul sănătăţii determină că este adecvat. Pacienţii sau îngrijitorii trebuie instruiţi privind injectarea Efgartigimodum Alfa conform indicaţiilor oferite în prospect.

<u>Categorii speciale de pacienţi</u>
Vârstnici La pacienţii cu vârsta de cel puţin 65 de ani nu este necesară ajustarea dozei
Insuficienţă renală La pacienţii cu insuficienţă renală uşoară sunt disponibile date limitate privind siguranţa şi eficacitatea; nu este necesară ajustarea dozei pentru pacienţii cu insuficienţă renală uşoară. Există date foarte limitate privind siguranţa şi eficacitatea la pacienţii cu insuficienţă renală moderată sau severă
Insuficienţă hepatică Nu sunt disponibile date la pacienţii cu insuficienţă hepatică. La pacienţii cu insuficienţă hepatică nu este necesară ajustarea dozei
Copii şi adolescenţi Siguranţa şi eficacitatea Efgartigimodum Alfa la copii şi adolescenţi nu au fost încă stabilite. Nu sunt disponibile date

V. Atenţionări şi precauţii speciale pentru utilizare

Infecţii:

Pacienţii trebuie monitorizaţi pentru semne şi simptome clinice de infecţie în timpul tratamentului cu Efgartigimodum Alfa. La pacienţii cu o infecţie activă, trebuie luat în considerare raportul beneficiu/risc de menţinere sau de oprire a tratamentului cu Efgartigimodum Alfa până la remiterea infecţiei. În cazul în care apar infecţii grave, trebuie luată în considerare amânarea tratamentului cu Efgartigimodum Alfa până la remiterea infecţiei.

Imunizări:

Toate vaccinurile trebuie administrate conform programelor de vaccinare.

Pentru pacienţii trataţi cu Efgartigimodum Alfa, nu se recomandă, în general, vaccinarea cu vaccinuri vii sau cu vaccinuri vii atenuate. În cazul în care este necesară vaccinarea cu vaccinuri vii sau cu vaccinuri vii atenuate, aceste vaccinuri trebuie administrate la cel puţin 4 săptămâni înainte de tratament şi la cel puţin 2 săptămâni după ultima doză de Efgartigimodum Alfa.

Alte vaccinuri pot fi administrate în funcţie de necesitate oricând în timpul tratamentului cu Efgartigimodum Alfa.

Tratamentele cu imunosupresoare şi anticolinesterazice

La reducerea dozelor sau întreruperea tratamentelor cu imunosupresoare, glucocorticoizi şi anticolinesterazice, pacienţii trebuie monitorizaţi îndeaproape pentru semne de exacerbare a bolii. Reducerea dozelor de glucocorticoizi administrate concomitent cu Efgartigimodum Alfa trebuie realizată gradual, într-un mod individualizat, în funcţie de răspunsul clinic al pacientului. Ritmul de scădere trebuie ajustat în funcţie de: durata tratamentului anterior cu glucocorticoizi, doza zilnică recomandată, riscul de insuficienţă suprarenală.

Tratamentul cu Efgartigimodum alfa la pacienţii cu MGFA Clasa -V (adică criză miastenică), definită ca intubare cu sau fără ventilare mecanică, cu excepţia unităţilor de îngrijire postoperatorie, nu a fost studiat. Trebuie luată în considerare secvenţa de iniţiere a tratamentului între tratamentele stabilite pentru criza MG şi Efgartigimodum Alfa, şi potenţialele lor interacţiuni.

Reacţii legate de injecţie şi reacţii de hipersensibilitate:

Pacienţii trebuie să fie informaţi cu privire la semnele şi simptomele de hipersensibilitate şi reacţii anafilactice şi trebuie sfătuiţi ca în cazul în care acestea apar să contacteze imediat profesionistul din domeniul sănătăţii.

Formula intravenoasă.

Pot apărea reacţii legate de perfuzie, cum sunt erupţia cutanată tranzitorie sau pruritul. În cadrul studiului clinic, reacţiile legate de perfuzie au fost uşoare până la moderate şi nu au dus la întreruperea tratamentului. Pacienţii trebuie monitorizaţi în timpul administrării şi timp de 1 oră ulterior pentru semnele şi simptomele clinice ale reacţiilor legate de perfuzie. În cazul în care apare o reacţie şi în funcţie de severitatea reacţiei, perfuzia trebuie administrată cu o viteză de perfuzare mai lentă, întreruptă sau oprită şi trebuie instituite măsuri adecvate de susţinere. După remitere, trebuie reluată administrarea cu atenţie, pe baza evaluării clinice.

Ulterior punerii pe piaţă, au fost raportate cazuri de reacţie anafilactică. Dacă se suspectează o reacţie anafilactică, administrarea Efgartigimodum Alfa trebuie oprită imediat şi trebuie iniţiat tratamentul medical corespunzător.

Formula injectabilă.

Au fost raportate reacţii legate de injecţie, cum sunt erupţia cutanată tranzitorie sau pruritul în cadrul studiilor clinic. Acestea au fost uşoare până la moderate.

Prima administrare a Efgartigimodum Alfa trebuie efectuată sub supravegherea unui profesionist din domeniul sănătăţii. Pacienţii trebuie monitorizaţi timp de 30 de minute după administrare pentru semnele şi simptomele clinice ale reacţiilor legate de injecţie. În cazul în care apare o reacţie şi în funcţie de severitate, trebuie iniţiate măsuri adecvate de susţinere. Injecţiile ulterioare trebuie administrate cu atenţie, pe baza evaluării clinice.

Dacă se suspectează o reacţie anafilactică, administrarea Efgartigimodum Alfa trebuie oprită imediat şi trebuie iniţiat tratamentul medical corespunzător.

VI. Monitorizarea tratamentului:

Formula intravenoasă.

Pacienţii trebuie monitorizaţi în timpul administrării şi timp de 1 oră ulterior pentru semnele şi simptomele clinice ale reacţiilor legate de perfuzie. În cazul în care apare o reacţie şi în funcţie de severitatea reacţiei, perfuzia trebuie administrată cu o viteză de perfuzare mai lentă, întreruptă sau oprită şi trebuie instituite măsuri adecvate de susţinere. După remitere, trebuie reluată administrarea cu atenţie, pe baza evaluării clinice.

Formula injectabilă.

Pacienţii trebuie monitorizaţi timp de 30 de minute după administrare pentru semnele şi simptomele clinice ale reacţiilor legate de injecţie. În cazul în care apare o reacţie şi în funcţie de severitate, trebuie iniţiate măsuri adecvate de susţinere. Injecţiile ulterioare trebuie administrate cu atenţie, pe baza evaluării clinice.

Interacţiuni cu alte medicamente

Nu s-au efectuat studii privind interacţiunile.

Efgartigimodum Alfa poate reduce concentraţiile compuşilor care se leagă de receptorul Fc neonatal uman (FcRn), adică, imunoglobuline, anticorpi monoclonali sau derivaţi de anticorpi care conţin domeniul Fc al subclasei IgG. Dacă este posibil, se recomandă să amânaţi iniţierea tratamentului cu aceste produse la 2 săptămâni după ultima doză din orice ciclu de tratament cu Efgartigimodum Alfa. Ca măsură de precauţie, pacienţii cărora li se administrează tratamentul cu aceste medicamente trebuie strict monitorizaţi pentru răspunsul de eficacitate aşteptat cu aceste medicamente.

Schimbul de plasmă, imunoabsorbţia şi plasmafereza pot reduce concentraţiile plasmatice ale Efgartigimodum Alfa.

Atunci când Efgartigimodum Alfa este administrat după alţi anticorpi monoclonali, este important să se ia în considerare mecanismul de acţiune şi durata efectului tratamentului anterior.

VII. Criterii de întrerupere a tratamentului:

- Hipersensibilitate la substanţa activă sau la oricare dintre excipienţi
- Pacient necompliant la evaluările periodice
- Decizia pacientului de renunţare la tratament
- Întreruperea din cauza reacţiilor adverse
- Pacienţii nu prezintă răspuns pozitiv la tratament pe parcursul a cel puţin 3 cicluri de tratament consecutive

Se consideră răspuns pozitiv la tratament dacă se constată:

- reducere ≥ 2 puncte în scorul MG-ADL total în comparaţie cu valoarea la intrarea în tratament
sau
- reducere ≥ 3 puncte în scorul QMG total în comparaţie cu valoarea la intrarea în tratament

Dacă pe parcursul a trei cicluri de tratament consecutive, administrate cu o pauză de 4 săptămâni între cicluri şi cu menţinerea terapiei de fond, nu există un răspuns pozitiv conform definiţiilor de mai sus, se va întrerupe administrarea tratamentului.

Continuarea şi întreruperea tratamentului cu Efgartigimodum Alfa trebuie să fie monitorizată cu grijă de către medicul curant.

VIII. Prescriptori:
Medicii din specialitatea neurologie cu experienţă în tratamentul pacienţilor cu tulburări neuromusculare.
După iniţierea tratamentului în spital (ciclul 1), continuarea acestuia se poate face de către medicii din specialitatea neurologie din teritoriu în baza scrisorii medicale sau a biletului de ieşire, (în ambulatoriu de specialitate sau secţie/compartiment Neurologie, în funcţie de starea pacientului).
Recomandarea pentru iniţierea tratamentului se face după evaluarea pacientului şi a dosarului acestuia şi confirmarea diagnosticului.
La includerea în tratament cu Efgartigimodum Alfa se va completa Fişa de evaluare clinică iniţială, la care se vor anexa documentele medicale care confirmă diagnosticul pacientului (test pozitiv Ac AChR).

DOSARUL DE INIŢIERE A TRATAMENTULUI trebuie să cuprindă următoarele documente:
1. Datele de identificare(CI)
2. Consimţământul informat al pacientului
3. Scrisoare medicală care să ateste diagnosticul de gMG şi indicaţia de tratament
4. Buletin de testare a autoanticorpilor AChR, care să ateste indicaţia terapeutica a medicamentului
5. Evaluarea iniţială - clinică şi paraclinică
6. Tratament concomitant".

4. CONCLUZII

În acord cu prevederile O.M.S. nr. 861/2014 cu modificările și completările ulterioare, medicamentul cu DCI Efgartigimodum Alfa și DC Vyvgart 1000 mg soluție injectabilă în seringă preumplută (de concentrație 200mg/ml) **îndeplinește** criteriile de evaluare corespunzătoare Tabelului nr.1 pentru indicația terapeutică: *„Vyvgart este indicat ca terapie adăugată la terapia standard la pacienții adulți cu Miastenia gravis generalizată (gMG) cu anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR)".*

5. RECOMANDĂRI

Recomandăm actualizarea protocolului terapeutic pentru DCI Efgartigimodum Alfa prin adăugarea a unei noi concentrații, de 200mg/ml în indicația terapeutică: *„Vyvgart este indicat ca terapie adăugată la terapia standard la pacienții adulți cu Miastenia gravis generalizată (gMG) cu anticorpi anti-receptor acetilcolină (AChR)"*

Bibliografie:

1. RCP Vyvgart https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2025/20250619166440/anx_166440_ro.pdf
2. Ord.MS nr. 861/2014 cu modificările și completările ulterioare
3. Ord.MS nr. 5994/2024 cu modificările și completările ulterioare
4. Ord.MS/CNAS nr. 564/499 cu modificările și completările ulterioare
5. H.G. nr. 720/2008 cu modificările și completările ulterioare
6. https://cnas.ro/

Raport finalizat in data de: 22.06.2026

Director General DGIF
Dr. Farm. Pr. Felicia Ciulu-Costinescu

Șef Serviciu SETS
Octavian MATEI