Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de rozanolixizumab (Rystiggo®) en miastenia gravis generalizada (MGg) en pacientes adultos con anticuerpos positivos frente al receptor de la acetilcolina (AChR) o frente al receptor muscular específico tirosina cinasa (MuSK).

Fecha de publicación: 28 de abril de 2025

¿Qué es rozanolixizumab y para qué se utiliza?

Rozanolixizumab es el principio activo de Rystiggo®, que es un medicamento indicado como complemento de la terapia estándar para el tratamiento de la miastenia gravis generalizada (MGg) en pacientes adultos con anticuerpos positivos frente al receptor de la acetilcolina (AChR) o frente al receptor muscular específico tirosina cinasa (MuSK).

La miastenia gravis (MG) es una enfermedad neuromuscular, crónica y autoinmune en la cual se producen autoanticuerpos patogénicos de tipo inmunoglobulina G (IgG). Éstas se unen a los receptores de la acetilcolina (AChR) o a moléculas funcionalmente relacionadas en la unión neuromuscular, provocando un bloqueo de la transmisión de la señal nerviosa y por lo tanto una alteración de la contracción muscular.

Esta enfermedad se caracteriza por debilidad de los músculos esqueléticos, que aumenta típicamente con el ejercicio y el uso del músculo, generando fatiga de intensidad variable. Como consecuencia, estos pacientes presentan una afectación sustancial en las actividades de la vida diaria y la calidad de vida. La MGg evoluciona en de manera impredecible y fluctuante y suele presentar brotes separados por remisiones de duración variable.

En función de su gravedad, se ven afectados los párpados y los músculos extraoculares o se afectan otros músculos además de los oculares (formas de miastenia gravis generalizada o MGg).

¿Cómo funciona rozanolixizumab?

Rozanolixizumab el principio activo de Rystiggo® es un anticuerpo monoclonal (proteína con diana específica) de tipo IgG4 que disminuye la concentración sérica de IgG, inhibiendo la unión de IgG al FcRn, un receptor que, en condiciones fisiológicas, protege a las IgG de la degradación intracelular.

A través de este mecanismo, rozanolixizumab disminuye la concentración de autoanticuerpos IgG patógenos asociados a la miastenia gravis.

Información básica sobre la autorización

Rystiggo® (rozanolixizumab) está autorizado por un procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida concedida el 5 de enero de 2024 para toda la Unión Europea por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)[1].

[1] Puede consultar la información en el siguiente enlace:
https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/rystiggo-epar-product-information_en.pdf

Conclusiones de la evaluación comparada de Rystiggo®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios ha publicado a fecha del 15 de octubre de 2024 el Informe de Posicionamiento Terapéutico de Rystiggo®[2].

Efgartigimod alfa, ravulizumab y zilucoplán están autorizados como complemento a la terapia estándar para el tratamiento de pacientes adultos con MGg con anticuerpos positivos frente a AChR. Rozanolixizumab es el único medicamento autorizado a fecha del 21.03.2025 para pacientes MuSK positivos. Para pacientes con anticuerpos positivos frente al receptor de la acetilcolina (AChR) existen otras alternativas también autorizadas y financiadas en España como son efgartigimod alfa (mecanismo según FcRn), ravulizumab y zilucoplán (ambos con mecanismo de acción inhibidores del complemento C5). A pesar de que existen ya varias opciones para el tratamiento de la MGg, aún existe una necesidad médica no cubierta para los pacientes que no presentan anticuerpos frente a AChR (entre los que se encuentran los pacientes con anticuerpos frente al receptor MuSK). En este sentido, rozanolixizumab es el único medicamento autorizado en la actualidad para pacientes con anticuerpos positivos frente al receptor MuSK.

A falta de comparaciones directas y, teniendo en cuenta las limitaciones a las que están sujetas las comparaciones disponibles (en especial la distinta gravedad de los pacientes incluidos en los estudios y las diferencias en los tiempos de medida en una patología sujeta a fluctuaciones) no es posible establecer la superioridad, inferioridad o equivalencia terapéutica de rozanolixizumab con eculizumab, efgartigimod alfa, ravulizumab o zilucoplán.

Los anti-FcRn se administran en ciclos de tratamiento, dependiendo el intervalo entre ciclos consecutivos de una evaluación clínica de la respuesta de cada paciente individual.

Por lo tanto, rozanolixizumab se considera una opción más de tratamiento, como complemento a la terapia estándar, para pacientes adultos con MGg con anticuerpos positivos frente a AChR y la única opción como complemento a terapia estándar en pacientes adultos con MGg con anticuerpos positivos frente a MuSK. La autorización se fundamenta en los resultados de un estudio pivotal, donde se evaluó la seguridad y eficacia del tratamiento Este estudio pivotal sólo evaluó la eficacia y seguridad de un ciclo de tratamiento (6 semanas) seguido de un periodo de observación (8 semanas). La evidencia sobre el tratamiento con ciclos repetidos en función de los síntomas procede fundamentalmente del estudio MG0007, con la limitación de tratarse de un estudio abierto y sin brazo control. La variable primaria de eficacia fue el cambio con respecto al valor basal hasta el día 43 en la puntuación total del MG-ADL La escala MG-ADL es una herramienta utilizada para evaluar la gravedad de los síntomas en pacientes con miastenia gravis que mide diferentes aspectos de la función muscular y neurológica Los resultados obtenidos, tanto con la variable principal como con estas variables secundarias se consideran clínicamente relevantes. La relevancia clínica de las variables informadas por el paciente se considera incierta, puesto que los cambios que se consideran clínicamente relevante aún están en proceso de definición.

Hasta el momento se han evaluado datos de eficacia y seguridad de hasta 4 ciclos de tratamiento con rozanolixizumab procedentes de los estudios de extensión abiertos. En general, los datos de eficacia y seguridad a largo plazo se consideran limitados.

[2] La última versión del 15 de octubre de 2024 se puede consultar en el siguiente enlace: https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2024/IPT-314-Rystiggo-rozanolixizumab.pdf

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 26 de febrero de 2025, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación como complemento de la terapia estándar para el tratamiento de la miastenia gravis generalizada (MGg) en pacientes adultos con MGG (clase II a IV según la clasificación clínica de la MGFA, puntuación MG-ADL de al menos 5 en la escala de las actividades de la vida diaria en MG (MG-ADL) con anticuerpos positivos frente al receptor de la acetilcolina (AChR) o frente al receptor muscular específico tirosina cinasa (MuSK), no controlados tras piridostigmina y corticoides y al menos dos terapias inmunosupresoras convencionales.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

En el SNS su financiación se restringe a los pacientes descritos en el punto anterior.

El laboratorio proporcionará además la bomba de perfusión necesaria para su administración de manera gratuita al hospital correspondiente cuando proceda esta manera de administración.

La financiación de Rystiggo® cuenta con el establecimiento de una dosis máxima por paciente/año con cargo al SNS.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado "Más información" aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.