

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS234374/2023, datum: 29. 2. 2024

Hodnocení přípravku a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek CAMZYOS (obsahující léčivou látku mavakamten, MAV) je určený k léčbě symptomatické hypertrofické obstrukční kardiomyopatie (oHCM) (New York Heart Association, NYHA, třída II-III) u dospělých pacientů, kteří nedostatečně reagují na standardní léčbou beta-blokátory nebo blokátory kalciových kanálů.

Žadatel navrhuje posoudit předmětný léčivý přípravek jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP).

Hypertrofická kardiomyopatie (HCM) je patří mezi nejčastější dědičná srdeční onemocnění. Je charakterizována přítomností nitrokomorové obstrukce spolu s diastolickou dysfunkcí, které se podílejí na symptomech onemocnění, zejména dušnosti, únavě, palpitacích, bolestech na hrudi, synkopách, ale také na vyšším riziku náhlé srdeční smrti (NSS) a vyšší roční mortalitě.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek CAMZYOS (ve spojení se standardní léčbou, pokud není kontraindikována) představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u dospělých pacientů v léčbě oHCM.

Přípravek podávaný společně se standardní léčbou (betablokátory nebo blokátory kalciových kanálů) má potenciál u části pacientů s oHCM třídy II nebo III nedostatečně reagujících na léčbu první volby (betablokátory, blokátory kalciových kanálů) zlepšit třídu NYHA a tím i jejich výkonnost a kvalitu života.

Přípravek nesplňuje odborná kritéria pro posouzení jako VILP daná ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění, protože v dostatečné míře nebylo doloženo, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje dočasnou úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty zařazení přípravku CAMZYOS do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální česká i zahraniční doporučení pro použití MAV u pacientů s oHCM.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku CAMZYOS nebude v další fázi správného řízení přiznána dočasná úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění dočasně hrazen, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS234374/2023

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, IČ: 800030, Blanchardstown Corporate Park 2, D15 T867 Dublin, Irsko

Zástupce: Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.

Léčivá látka a cesta podání: mavakamten, perorální podání

ATC: C01EB24

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0271791	CAMZYOS	2,5MG CPS DUR 28
0271793	CAMZYOS	5MG CPS DUR 28
0271795	CAMZYOS	10MG CPS DUR 28
0271797	CAMZYOS	20MG CPS DUR 28

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG

Posuzovaná indikace

Léčba symptomatické hypertrofické obstrukční kardiomyopatie (oHCM) (New York Heart Association, NYHA, třída II-III) u dospělých pacientů, kteří nedostatečně reagují na standardní léčbou beta-blokátory nebo blokátory kalciových kanálů.

Stanovisko k žádosti

Účinnost a bezpečnost MAV v léčbě oHCM u dospělých je doložena randomizovanou kontrolovanou klinickou studií fáze III (EXPLORER-HCM). Údaje z placebem kontrolované studie EXPLORER-HCM dokládají, že MAV může u části pacientů s oHCM třídy II nebo III nedostatečně reagujících na léčbu první volby (tzv. „standard of care“: betablokátory, blokátory kalciových kanálů) zlepšit třídu NYHA a tím i jejich výkonnost a kvalitu života. Statisticky významně lepších výsledků ve prospěch MAV bylo dosaženo také v sekundárních sledovaných cílech (zlepšení o nejméně 1 funkční třídu NYHA, zlepšení LVOT po zátěži, a zlepšení kvality života související se zdravím). Bezpečnostní profil je akceptovatelný. Předběžná data z dlouhodobého sledování naznačují setrvávání účinku i po 120 týdnech léčby, bez výskytu nových bezpečnostních rizik.

Přípravek nesplňuje odborná kritéria pro posouzení jako VILP daná ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění, protože v dostatečné míře nebylo doloženo, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě.

Jelikož žádosti nelze vyhovět s ohledem na skutečnost, že nebylo dostatečným způsobem doloženo splnění podmínek vysoké inovativnosti daných ustanoveními § 39d odst. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění, je hodnocení předložených farmakoekonomických analýz bezpředmětné a Ústav se k nim dále nevyjadřuje.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP nebo PZLÚ

Léčivý přípravek byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

K léčivému přípravku nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Maximální cena není stanovena.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

10,0000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.