

# SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS110348/2023, datum: 9. 4. 2024

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek ASPAVELI (obsahující léčivou látku pegcetakoplan, PGC) je určený k léčbě k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie (PNH) u dospělých pacientů, kteří mají anemii i po minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 složky komplementu.

PNH je vzácné chronické onemocnění, které může vést k život ohrožujícím komplikacím a rozvoji systémových komplikací, které zahrnují chronickou hemolýzu (v důsledku toto rozvoj anemie), poškození funkce kostní dřeně, riziko trombózy a následné jaterní selhání.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (LP) ASPAVELI představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s PNH, kteří zůstávají anemičtí po předchozí minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 složky komplementu.

V rámci správního řízení nebylo prokázáno, že přípravek splňuje podmínky účelné terapeutické intervence pro účely stanovení úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

Ústav s ohledem na neprokázání nákladové efektivity vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení LP ASPAVELI do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií a farmakoekonomické analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální doporučené postupy k terapii PNH a vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

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

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS110348/2023

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Zástupce: Swedish Orphan Biovitrum s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: pegcetakoplan, infuzní podání

ATC: L04AJ03

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu
0255395	ASPAVELI	1080MG INF SOL 1X20ML
0255396	ASPAVELI	1080MG INF SOL 8(8X1)X20ML

Držitel rozhodnutí o registraci: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

## Posuzovaná indikace

Léčba paroxysmální noční hemoglobinurie (PNH) u dospělých pacientů, kteří mají anemii i po minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 složky komplementu.

Pacienti s PNH a vysokou aktivitou onemocnění jsou v první linii indikováni k léčbě inhibitory C5 složky komplementu (léčivý přípravek SOLIRIS obsahující léčivou látku ekulizumab, ECU). Inhibitory složky komplementu C5 jsou obecně dobře tolerovány a účinně kontrolují hemolýzu spojenou s PNH (zlepšují symptomy spojené s anémií – únava, dušnost, snížení transfuzní závislosti), zabraňují trombóze a snižují bolest. Nicméně, k normalizaci hodnot Hb ( $\geq 120$  g/l) dochází i přes dosažení transfuzní nezávislosti jen u 25 % nemocných a u zbytku nemocných většinou přetrvává únava a snížená výkonnost spojená s nižší hodnotou Hb.

## Stanovisko k žádosti

LP ASPAVELI disponuje dostatečnými odbornými důkazy o terapeutické účinnosti a bezpečnosti vůči ECU, který se podává v předchozí linii léčby. Předložená klinická evidence prokázala vyšší účinnost a srovnatelnou bezpečnost LP ASPAVELI u cílové skupiny pacientů s PNH a anémií i po předcházející minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 (ECU, LP SOLIRIS). Použití posuzovaného přípravku je ukotveno v českých klinických doporučeních pro léčbu PNH.

Ministerstvo zdravotnictví ve svém rozhodnutí k předchozímu průběhu tohoto správního řízení uvedlo, že LP SOLIRIS nemá stanovenou trvalou úhradu z prostředků veřejného zdravotního pojištění, jeho úhrada probíhá výhradně na základě individuální žádosti v souladu s ustanovením § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění, proto jeho použití jako relevantního komparátoru pro účely analýzy nákladové efektivity je v rozporu s platnou legislativou. Z toho důvodu je nutné pro stanovení úhrady doložit i komparativní účinnost a bezpečnost

s nejlepší dostupnou/podpůrnou léčbou (BSC), která zahrnuje transfuze erytrocytů, podání kyseliny listové, antikoagulační profylaxi. Tato klinická data však s ohledem na cílovou skupinu pacientů posuzovanou v tomto správním řízení nejsou k dispozici. Nepřímo lze jen odvodit, že pokud LP ASPAVELI vykazuje u pacientů s anémií i po nejméně 3-měsíční léčbě ECU vyšší účinnost a akceptovatelnou bezpečnost ve srovnání s ECU, lze tyto výstupy akceptovat i pro srovnání s BSC.

Analýza nákladové efektivity léčivého přípravku ASPAVELI v posuzované indikaci ve srovnání s BSC ukazuje ICER ve výši 24 095 587 Kč/QALY. V porovnání s LP SOLIRIS je léčivý přípravek ASPAVELI dominantní terapií. Léčivý přípravek nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, jelikož nákladová efektivita nebyla prokázána proti všem relevantním komparátorům.

V předmětném správním řízení tak nebylo prokázáno, že přípravek ASPAVELI splňuje podmínky účelné terapeutické intervence dle ustanovení § 15 odst. 6 písm. d) zákona o veřejném zdravotním pojištění. Léčivý přípravek ASPAVELI by nebyl nákladově efektivní oproti BSC ani při zohlednění navrženého finančního ujednání.

Výsledek analýzy dopadu na rozpočet Ústav považuje za nepřezkoumatelný, proto nelze uvést konkrétní výši předpokládaného dopadu na rozpočet.

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

## Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických 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

Stanovení maximální ceny není předmětem tohoto správního řízení.

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

308,5714 mg/den

## Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

## Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.