

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS256777/2022, datum: 8. 3. 2023

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek XOSPATA (obsahující léčivou látku gilteritinib) je určený k léčbě pacientů s relabující či refrakterní akutní myeloidní leukémií s prokázanou mutací FLT3.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) XOSPATA představuje přidanou hodnotu u pacientů s relabující či refrakterní akutní myeloidní leukémií s prokázanou mutací FLT3 (s výjimkou pacientů s primárně refrakterním onemocněním, u kterých se na předchozí léčbě nepodařilo dosáhnout takové odpovědi, aby u nich mohla být provedena transplantace krvetvorných kmenových buněk) oproti dostupným režimům chemoterapie (a to vysoce intenzivním kombinačním režimům, jako je režim FLA-IDA, i oproti paliativním monoterapiím, jako je nízkodávkovaný cytarabin). Přípravek má potenciál statisticky i klinicky významně prodloužit očekávanou délku přežití léčených pacientů (v mediánu o 3,7 měsíců, což je o více než 60 %), významně snižuje pravděpodobnost úmrtí oproti standardním léčebným režimům.

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP). Konkrétně, léčivý přípravek vyhovuje podmínce ustanovení § 39d odst. 2 písm. b) zákona o veřejném zdravotním pojištění, jelikož vede k prodloužení střední doby celkového přežití alespoň o 30 % oproti hrazené léčbě (konkrétně o cca 60 %), nejméně však o 3 měsíce (konkrétně o 3,7 měsíce).

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje přiznat druhou dočasnou úhradu.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku XOSPATA 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 akutní myeloidní leukémie.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku XOSPATA bude v další fázi správného řízení stanovena druhá dočasná úhrada na 2 roky, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS256777/2022

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Astellas Pharma Europe B.V.**

Zástupce: **Astellas Pharma Europe s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: gilteritinib, perorální podání (ve formě tablet)

ATC: L01EX13

Léčivý přípravek: XOSPATA 40MG TBL FLM 84

Držitel rozhodnutí o registraci: **Astellas Pharma Europe B.V.**, IČ: 28053775, Sylviusweg 62, 2333 BE Leiden, Nizozemské království

Posuzovaná indikace

Akutní myeloidní leukemie (AML) je vzácné zhoubné onemocnění krvetvorby. Přítomnost mutace FLT3 je u AML nepříznivým faktorem, který se (v době nepřítomnosti léčby cílené na FLT3) pojil s horšími vyhlídkami pacientů na přežití.

Stanovisko k žádosti

Robustní registrační randomizovaná kontrolovaná studie ADMIRAL dokládá významný klinický přínos léčby gilteritinibem pro celkové přežití pacientů v prvním relapsu onemocnění, a to ve srovnání s chemoterapií (u pacientů s primárně refrakterním onemocněním, u kterých se na předchozí léčbě nepodařilo dosáhnout takové odpovědi, aby u nich mohla být provedena transplantace krvetvorných kmenových buněk, nebyl klinický přínos pro účely stanovení úhrady dostatečně prokázán). Profil toxicity je v oblasti hematologické toxicity provázen zejména vyšším výskytem závažné neutropenie a anémie, nicméně jej lze vyhodnotit jako přijatelný. S ohledem na přínos terapie ve smyslu prodloužení očekávaného přežití pacientů alespoň o 30 % a (zároveň) o více než 3 měsíce je splněno zákonné kritérium vysoké inovativnosti.

Hodnocení nákladové efektivity není dle ustanovení § 39d odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění v případě stanovení druhé dočasné úhrady vysoce inovativního léčivého přípravku vyžadováno.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 25 až 28 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 65,8 až 73,3 milionů Kč v prvních pěti letech. S ohledem na shromážděné důkazy považuje Ústav dopad na rozpočet za akceptovatelný.

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 byla změněna takto:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238673	XOSPATA	40MG TBL FLM 84	378 196,36 Kč	425 280,12 Kč

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

120,0000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena dočasná na 2 roky následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné ve Švédsku.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238673	XOSPATA	40MG TBL FLM 84	457 550,84	372 828,83	419 257,75

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Gilteritinib je hrazen jako monoterapie k léčbě dospělých pacientů s relabující akutní myeloidní leukemií s mutací FLT3 (typu FLT3-ITD nebo FLT3-TKD), v prvním relapsu onemocnění. Jedná se o pacienty o dobrém stavu výkonnosti, ECOG 0-1. Pacienti nesmějí vykazovat primární refrakteritu k předchozí léčbě (nedosažení odpovědi dostatečné pro provedení transplantace) a mutace FLT3 musí být prokázána před zahájením léčby gilteritinibem. Terapie je hrazena do progresse onemocnění, provedení transplantace hematopoetických kmenových buněk či do nepřijatelné toxicity dle toho, co nastane dříve.