

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS12551/2023, datum: 12. 5. 2023

Hodnocená PZLÚ a pro jaké použití byla hodnocena

Potraviný pro zvláštní lékařské účely (PZLÚ) PKU SPHERE LIQUID (obsahující definovanou směs aminokyselin a glykomakropeptid (GMP)) v tekuté lékové formě jsou určeny k dietní léčbě pacientů s fenylketonurií (PKU). S ohledem na zastoupení peptidu GMP posuzované PZLÚ obsahují definované množství fenylalaninu (PHE). Standardní PZLÚ určené k dietní terapii PKU fenylalanin neobsahují, pouze jednotlivé aminokyseliny, které však zhoršují chuť těchto PZLÚ a zhoršují spolupráci pacientů. GMP tím, že část aminokyselin nahrazuje polypeptidem, zlepšuje chuťové vlastnosti předmětných PZLÚ.

GMP představuje nový alternativní přístup k tradiční dietní léčbě pacientů s fenylketonurií a hyperfenylalaninemií, kdy může zlepšit dodržování léčby pacientem.

Vyjádření Ústavu k hodnocené PZLÚ v dané indikaci

PZLÚ PKU SPHERE LIQUID má obdobný terapeutický přínos (účinnost a bezpečnost) jako již hrazené PZLÚ s obsahem definované směsi aminokyselin bez fenylalaninu v tekuté lékové formě, náležející do referenční skupiny č. 107/5 (např. PZLÚ PKU COOLER 20, PKU AIR, MEVALIA PKU MOTION) v léčbě prokázané fenylketonurie a hyperfenylalaninémie u pacientů ve věku 11 let a starších v případě, že ve vypočteném denním množství PE (proteinového ekvivalentu) nahradí 30 % PE stejně jako původně podávané PZLÚ z referenční skupiny č. 107/5 (definované směsi aminokyselin bez fenylalaninu, dávkované formy tekuté na obsah aminokyselin). Vždy musí být lékařem důkladně zhodnocena individuální tolerance k PHE.

Na základě provedeného ekonomického hodnocení Ústav dospěl k závěru, že při navrhovaných podmínkách úhrady PZLÚ PKU SPHERE LIQUID při příjmu v denním limitu 30 % PE bude hodnocená intervence méně nákladná se šetřícím dopadem na rozpočet ve srovnání se stavem, kdy pacient pokryje 30 % PE PZLÚ z referenční skupiny č. 107/5.

Ústav proto z důvodu vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje úhradu přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení PZLÚ PKU SPHERE LIQUID do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií a farmakoekonomické analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet, které předložila farmaceutická společnost uvádějící PZLÚ na český trh. Dále vzal Ústav v potaz vyjádření České pediatrické společnosti.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

PZLÚ PKU SPHERE LIQUID bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, pokud žádný z účastníků řízení (dovozce PZLÚ nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by stanovisko Ústavu změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS12551/2023

PZLÚ a žadatel:

Žadatel: Nestlé Česko s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: definovaná směs aminokyselin s obsahem glykomakropeptidu a nízkým obsahem fenylalaninu v tekuté lékové formě

ATC: V06XX

PZLÚ:

Kód SÚKL	Název PZLÚ	Doplněk názvu
0217626	PKU SPHERE 20 LIQUID VANILKOVÁ PŘÍCHUŤ	POR SOL 15X237 ML

Dovozce: Nestlé Česko s.r.o.

Posuzovaná indikace

Dietní léčba fenylketonurie

Stanovisko k žádosti

Ústav neshledal zásadní limitace předložených klinických podkladů a klinický přínos PZLÚ PKU SPHERE LIQUID s obsahem GMP (kontrola hladin fenylalaninu) u populace pacientů s PKU starší 11 let věku, kteří mohou užívat posuzované PZLÚ v takovém denním množství, že pokryje maximálně 30 % proteinového ekvivalentu. Ústav vyhodnotil posuzovanou PZLÚ PKU SPHERE na základě navrhovaných podmínek úhrady jako terapeuticky nezaměnitelnou s PZLÚ s obsahem GMP v práškové formě (např. VITAFLO PKU SPHERE).

Dle stanoviska odborné společnosti i aktuálních evropských doporučených postupů pro léčbu fenylketonurie nebyl dostatečně prokázán klinický přínos a bezpečnost GMP u dětí mladších 11 let věku ani u těhotných žen. Ústav proto uzavírá, že důkazy o účinnosti a bezpečnosti PZLÚ PKU SPHERE LIQUID u těchto skupin pacientů jsou nedostatečné pro stanovení úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

Ústav na základě farmakoekonomického hodnocení dospěl k závěru, že s ohledem na výsledek analýzy nákladové efektivity typu CMA lze předmětné PZLÚ považovat za nákladově efektivní intervenci se šetřícím dopadem na rozpočet, resp. lze předpokládat, že vstup předmětných PZLÚ do systému úhrad nepovede k navýšení dopadu na rozpočet ve srovnání s ostatními PZLÚ, které jsou v této indikaci již hrazeny ze zdravotního pojištění.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřeny mezi dovozcem a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných PZLÚ

Posuzované PZLÚ byly zařazeny do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných PZLÚ definované směsi aminokyselin a GMP s nízkým obsahem PHE, dávkované formy tekuté.

K posuzovaným PZLÚ nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: MC (Kč)	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0217626	PKU SPHERE 20 LIQUID VANILKOVÁ PŘÍCHUŤ	POR SOL 15X237 ML	10 500,00	9 827,96	12 510,94

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

25 g

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR (Kč)
0217626	PKU SPHERE 20 LIQUID VANILKOVÁ PŘÍCHUŤ	POR SOL 15X237 ML	4 078,44	9 827,97	5 634,51

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny posuzované PZLÚ zjištěné v Německu. Úhrada za balení byla na následně ponížena dle návrhu žadatele.

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S/J4

P: Definovaná směs aminokyselin s obsahem glykomakropeptidu a s nízkým obsahem fenylalaninu je hrazena v rámci dietního postupu při prokázané fenylketonurii a hyperfenylalaninémii u pacientů ve věku 11 let a starších v množství odpovídajícím nejvýše 30 % doporučené denní dávky bílkovin. Přípravek není hrazen těhotným ženám.