

# SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS67383/2023, datum: 12. 7. 2023

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek OCTIM (obsahující léčivou látku desmopresin, DDAVP) je určený k prevenci krvácení při malých chirurgických výkonech u pacientů s mírnou a středně těžkou hemofilií A (HA) a s von Willebrandovou nemocí (vWD) typu 1 a 2, kromě typu 2B tohoto onemocnění.

DDAVP se dále používá ke snížení nebo normalizaci krvácení spojeného s invazivními nebo diagnostickými úkony u pacientů se získanými nebo vrozenými poruchami funkce krevních destiček (např. při uremii, jaterní cirhóze).

Pacienti s HA a vWD mají vrozený deficit faktoru VIII popř. faktoru von Willebrand (vWF), které jsou nutné k zajištění správného srážení krve při krvácení. V důsledku deficitu těchto faktorů jsou pacienti, v případě chirurgického zákroku, ohroženi zvýšeným rizikem krvácení.

DDAVP zvyšuje hladinu endogenního FVIII a vWF a tím snižuje riziko krvácení spojeného s menšími chirurgickými výkony u pacientů s jejich mírným deficitem.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) představuje přidanou hodnotu pouze pro skupinu pacientů s mírnou a středně těžkou formou hemofilie (HA) a pro pacienty s von Willebrandovou nemocí typu 1 a 2, kromě typu 2B tohoto onemocnění. Přípravek má potenciál snížit riziko krvácení u těchto skupin pacientů, pokud podstoupí menší chirurgický nebo stomatologický zákrok, bez nutnosti podat k úpravě krvácení exogenní FVIII resp. kombinaci FVIII/vWF.

U pacientů s vrozenými nebo získanými poruchami funkce trombocytů mimo HA a vWD (dále též „trombocytopenie“) v rámci správného řízení nebylo možné prokázat, že předmětný přípravek splňuje podmínky účelné terapeutické intervence pro účely stanovení úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

V indikaci HA a vWD je přípravek méně nákladný než dostupná hrazená standardní léčba koncentrátem FVIII a vWF. Proto Ústav přípravek posoudil jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů úsporu generující finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení pro populace pacientů s mírnou a středně těžkou formou HA a s von Willebrandovou nemocí typu 1 a 2 (kromě typu 2B) a pro tyto populace pacientů navrhuje úhradu přiznat. Pro pacienty s trombocytopeniemi Ústav navrhuje úhradu nepřiznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku OCTIM do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií a farmakoekonomické analýzy nákladové efektivity, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální doporučené postupy k terapii HA, vWD a trombocytopenií.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku OCTIM bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada pro populace pacientů definované výše, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS67383/2023

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Ferring-Léčiva, a.s.**

Zástupce: **Ferring Pharmaceuticals CZ s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: desmopresin (DDAVP), intravenózní a subkutánní podání

ATC: H01BA02

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0220641	OCTIM	15MCG/ML INJ/INF SOL 10X1ML

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Ferring

## Posuzovaná indikace

Hemofilie A (HA) je dědičné onemocnění, vedoucí k absenci nebo nedostatku FVIII.

Dle tíže defektu FVIII se HA dělí na několik forem, DDAVP se používá jen u mírné, popř. středně těžké formy deficitu, při kterém jsou pacienti ohroženi krvácením při chirurgickém či stomatologickém zákroku, úrazech.

Pacienti s lehkou formou HA jsou ohroženi nadměrným krvácením po úrazu nebo během operace.

Von Willebrandova choroba (vWD) je vrozená porucha krevní srážlivosti, závažnost krvácení je úměrná stupni primárního nedostatku vWF a sekundárnímu deficitu FVIII. Jedná se o heterogenní skupinu chorob, které jsou rozděleny do několika typů podle výše deficitu vWF a FVIII. DDAVP je možné použít jen u částečného deficitu.

Trombocytopenie jsou způsobeny funkční poruchou trombocytů z vrozených nebo získaných příčin. Typické jsou krvácivé projevy po traumatu či operaci, prodloužená krvácivost, nález normálního počtu krevních destiček.

## Stanovisko k žádosti

Použití DDAVP v prevenci krvácení u pacientů s HA a vWD je pevně ukotveno v platných národních i mezinárodních klinických doporučeních a podloženo dlouhodobou klinickou praxí.

Přípravek OCTIM je v indikaci HA a vWD méně nákladný než v současnosti dostupná hrazená standardní léčba koncentrátem FVIII a vWF. Proto Ústav přípravek OCTIM posoudil jako nákladově efektivní léčbu.

Zařazení přípravku do systému úhrad představuje úsporu generující finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

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

Klinická data o účinnosti a bezpečnosti DDAVP u trombocytopenií jsou velmi omezená a pochází jen z malých, nerandomizovaných nebo případových studií a s různými výsledky. S ohledem na to, že Ústavu nebyla předložena data o komparativní účinnosti DDAVP vůči identifikovaným komparátorům (kyselina tranexamová, etamsylát) u trombocytopenií, nebyly tak naplněny zákonné požadavky na prokázání komparativní účinnosti a následné stanovení úhrady. Ústav proto úhradu pro tuto skupinu pacientů nestanovil.

## 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 je stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0220641	OCTIM	15MCG/ML INJ/INF SOL 10X1ML	<b>6 934,05</b>	8 656,35

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

22,5000 mg /den

## Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU LP 15MCG/ML INJ/INF SOL 10X1ML zjištěné v Estonsku.

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)
0220641	OCTIM	15MCG/ML INJ/INF SOL 10X1ML	6 223,94	<b>6 223,94</b>	7 843,99

## Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

### **A,E/HEM**

**P:** Desmopresin je hrazen v prevenci krvácení před malými chirurgickými výkony u pacientů s mírnou a středně těžkou formou hemofilie A nebo s von Willebrandovou nemocí typu 1 a 2 (kromě typu 2B). Před použitím desmopresinu je vždy nutné provést test k průkazu hemostatické aktivity po podání desmopresinu u daného pacienta.