

SOUHRN KE 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS110348/2023, datum: 25. 8. 2023

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.

Přípravek ASPAVELI přináší vyšší přínosy pro pacienty a zároveň je v celoživotním časovém horizontu méně nákladný než dostupná hrazená standardní léčba ekulizumabem. Proto Ústav přípravek posoudil jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústav s ohledem na výše uvedené vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje úhradu přiznat.

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?

LP ASPAVELI bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, 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: L04AA54

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 (≥ 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. Předložená klinická evidence prokázala vyšší účinnost a srovnatelnou bezpečnost u cílové skupiny pacientů s PNH a anémií i po předcházející minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5. Použití posuzovaného přípravku je ukotveno v českých klinických doporučeních pro léčbu PNH.

Základní scénář předložené analýzy nákladové efektivity ukazuje, že pegcetakoplan je ve srovnání s komparátorem dominantní intervencí, což znamená, že přináší vyšší přínosy pro pacienty a zároveň je v celoživotním časovém horizontu méně nákladný než dostupná hrazená standardní léčba ekulizumabem. Přípravek proto lze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 27 až 35 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 0,8 až úsporu 17,3 mil. Kč (kumulativní úspora ve výši 61,8 mil. Kč) v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné důkazy považovat za akceptovatelný.

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 je stanovena následovně:

Základní úhrada stanovena v souladu s návrhem žadatele.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0255395	ASPAVELI	1080MG INF SOL 1X20ML	62 541,91	66 667,84	70 290,00
0255396	ASPAVELI	1080MG INF SOL 8(8X1)X20ML	500 335,28	533 342,70	562 319,98

Podmínky úhrady

S
P: Léčivý přípravek je hrazen u dospělých pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří mají anemii i po minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 složky komplementu.