

SOUHRN KE 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS159868/2022, datum: 25. 5. 2023

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivé přípravky ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) jsou určeny k léčbě pacientů se závažným onemocněním paroxysmální noční hemoglobinurie (dále jen „PNH“) nebo pacientů se závažným onemocněním atypický hemolyticko-uremický syndrom (dále jen „aHUS“). Používají se u pacientů předléčených inhibitory komplementu (LP SOLIRIS) s klinickými příznaky onemocnění s cílem těmto příznakům zamezit nebo je zmírnit.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivé přípravky (dále jen „LP“) ULTOMIRIS byly zhodnoceny jako obdobně účinné, bezpečné s dostupnou, avšak trvale standardně nehrazenou terapií – léčivým přípravkem SOLIRIS (obsahující léčivou látku ekulizumab). Přípravky mají potenciál snížit riziko úmrtí pacienta, snížit výskyt klinicky významných symptomů onemocnění a/nebo jejich tíži a zlepšit kvalitu života pacientů.

V průběhu správného řízení bylo prokázáno, že léčba LP ULTOMIRIS v indikaci PNH je méně nákladná ve srovnání s léčbou ekulizumabem (LP SOLIRIS). Ústav proto přípravky v indikaci PNH posoudil jako nákladově efektivní terapii.

Také v indikaci aHUS bylo prokázáno, že léčba LP ULTOMIRIS je méně nákladná než léčba ekulizumabem (LP SOLIRIS). Ústav proto přípravky v indikaci aHUS posoudil jako nákladově efektivní terapii. Zařazení přípravků do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů v indikaci léčba aHUS i PNH akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

S ohledem na výše uvedené Ústav navrhuje úhradu LP ULTOMIRIS přiznat v obou indikacích.

Ústav dále uvádí, že nestanovuje úhradu pro pacienty s PNH nebo aHUS, kteří doposud nebyli léčeni inhibitory komplementu (LP SOLIRIS), neboť bylo doloženo podáními příslušných odborných společností, že takový postup není pro předmětné LP ULTOMIRIS v souladu s klinickou praxí.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení LP ULTOMIRIS 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 odborná stanoviska odborných společností České hematologické společnosti ČLS JEP a České nefrologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP ULTOMIRIS bude v další fázi správného řízení přiznána úhrada v obou indikacích, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS159868/2022

Léčivý přípravek/ potravina pro zvláštní lékařské účely a žadatel

Žadatel: Alexion Europe SAS

Zástupce: AstraZeneca Czech Republic s.r.o

Léčivá látka a cesta podání: ravulizumab, koncentrát pro infuzní roztok

ATC: L04AA43

Léčivý přípravek: ULTOMIRIS 300MG/30ML INF CNC SOL 1X30ML, kód SÚKL 0538548, ULTOMIRIS 300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML, kód SÚKL 0250232

Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS

Posuzovaná indikace

Léčba pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s paroxysmální noční hemoglobinurií s hemolýzou s klinickým příznakem (klinickými příznaky) svědčícím (svědčícími) o vysoké aktivitě onemocnění.

Léčba pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem.

Stanovisko k žádosti

Ústav neshledal zásadní limitace předložených klinických podkladů a klinický přínos ve smyslu snížení rizika úmrtí spolu se zvýšením kvality života u hodnocené populace považuje za prokázaný.

Ústav **nestanovuje** úhradu pro pacienty se symptomatickou PNH nebo aHUS, kteří doposud nebyli léčeni inhibitory komplementu (jak umožňuje SmPC LP ULTOMIRIS), neboť LP ULTOMIRIS s obsahem léčivé látky ravulizumab se prakticky uplatňují až v druhé linii léčby PNH nebo aHUS, po předlčení LP SOLIRIS s obsahem léčivé látky ekulizumab.

S ohledem na obdobnou účinnost léčivých látek ravulizumab a ekulizumab předložil žadatel analýzu typu CMA (analýza minimalizace nákladů) v obou indikacích.

V indikaci PNH jsou hodnocené přípravky ve srovnání s komparátorem v horizontu 20 let o 1 625 352 Kč méně nákladné u dospělých a o 7 608 996 Kč méně nákladné u dětí. **LP ULTOMIRIS tak lze považovat za nákladově efektivní intervenci.**

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 17 až 18 léčených pacientů s PNH a ukazuje výsledek ve výši 19 mil. Kč v 1. roce až úsporu 4 mil. Kč v 5. roce. **Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné podklady považovat za akceptovatelný.**

V indikaci aHUS jsou hodnocené přípravky ve srovnání s komparátorem v horizontu 20 let u dospělých méně nákladné o 40 142 884 Kč a u dětí o 37 018 978 Kč. **LP ULTOMIRIS tak lze v indikaci aHUS považovat za nákladově efektivní terapii.**

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 28 až 33 léčených pacientů s aHUS a ukazuje úsporu ve výši 34 mil. Kč v 1. roce až úsporu 84 mil. Kč v 5. roce. **Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné podklady považovat za akceptovatelný.**

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP nebo PZLÚ

Léčivé přípravky byly posouzeny jako nezaměnitelné s žádnou referenční skupinou.

K léčivým přípravkům nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0538548	ULTOMIRIS	300MG/30ML INF CNC SOL 1X30ML	110 147,46	124 529,25
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	107 650,19	121 727,31

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 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 ULTOMIRIS 300MG/30ML INF CNC SOL 1X30ML zjištěné ve Slovinsku. Úhrada za balení byla ponížena na návrh žadatele.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR (Kč)
0538548	ULTOMIRIS	300MG/30ML INF CNC SOL 1X30ML	88 958,83	105 670,51	100 755,61
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	88 958,83	105 670,51	100 755,61

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Ravulizumab je hrazen:

- v léčbě pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s paroxysmální noční hemoglobinurií s hemolýzou s klinickým příznakem (klinickými příznaky) svědčícím (svědčícími) o vysoké aktivitě onemocnění, kteří jsou klinicky stabilní nejméně po dobu posledních 6 měsíců léčby ekulizumabem;
- v léčbě pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem, kterým byl podáván ekulizumab nejméně po dobu 6 měsíců a byla u nich prokázána odpověď na ekulizumab.