

SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS159868/2022, datum: 31. 7. 2024

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivé přípravky ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) jsou určeny k léčbě pacientů se závažným hematologickým onemocněním paroxysmální noční hemoglobinurie (dále jen „PNH“) nebo pacientů se závažným onemocněním atypický hemolyticko-uremický syndrom (dále jen „aHUS“). Používají se u pacientů s klinickými příznaky onemocnění s cílem těmito příznakům zamezit nebo je zmírnit. Je žádáno o stanovení úhrady pro pacienty bez předléčení inhibitory komplementu.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivé přípravky (dále jen „LP“) ULTOMIRIS představují přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u pacientů s oproti dostupné a hrazené nejlepší podpůrné léčbě (BSC). Přípravky mají potenciál snížit riziko úmrtí pacienta, snížit výskyt klinicky významných symptomů onemocnění a/nebo jejich tíži a zlepšit kvalitu života pacientů.

LP ULTOMIRIS byly zhodnoceny jako obdobně účinné a 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 rámci správního řízení nebylo prokázáno, že přípravek splňuje podmínky účelné terapeutické intervence v indikacích PNH a aHUS, jelikož nebyla prokázána nákladová efektivita LP ULTOMIRIS oproti relevantnímu komparátoru (BSC).

S ohledem na neprokázání nákladové efektivity přípravků v indikaci PNH, ani v indikaci aHUS Ústav navrhuje úhradu v této indikaci nepřiznat.

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?

Léčivému přípravku ULTOMIRIS nebude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen, 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: L01AJ02

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

1) *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;*

2) *léčba pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem.*

Stanovisko k žádosti

Ústav s akceptovatelnou mírou nejistoty předložených klinických podkladů považuje klinický přínos ve smyslu snížení rizika úmrtí spolu se zvýšením kvality života u hodnocené populace za prokázaný.

Předložená analýza nákladové efektivity přípravku ULTOMIRIS **v indikaci PNH** ve srovnání s terapií BSC ukazuje ICER ve výši 25 979 742 Kč/QALY, hodnocený léčivý přípravek tak nelze ve srovnání s BSC považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi, ani při zohlednění navrhovaného finančního ujednání.

Analýza dopadu na rozpočet v indikaci PNH odhaduje 35 až 36 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 66,5 mil. Kč v 1. roce až 13,4 mil. Kč v 5. roce ve srovnání s LP SOLIRIS. Ústav nicméně konstatuje, že tento výsledek je významně zatížen nejistotou úhrady LP SOLIRIS postupem dle ustanovení § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění v následujících pěti letech. V případě změny klinické praxe (pacienti by byli léčeni pouze BSC) by dopad na rozpočet mohl být až ve výši 326,1 až 259,1 mil. Kč v prvních pěti letech.

Předložená analýza nákladové efektivity přípravku ULTOMIRIS **v indikaci aHUS** ve srovnání s BSC nesplňuje minimální požadavky na kvalitu, neboť Ústavu dosud nebyl předložen relevantní metodicky správný scénář a nákladovou efektivitu tak nelze s akceptovatelnou mírou nejistoty vyhodnotit. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Analýza dopadu na rozpočet v indikaci aHUS ve srovnání s komparátorem LP SOLIRIS odhaduje 33 léčených pacientů a ukazuje úsporu ve výši 17,5 mil. Kč v 1. roce až úsporu 85,5 mil. Kč v 5. roce ve srovnání s LP SOLIRIS. Ústav nicméně konstatuje, že tento výsledek je významně zatížen nejistotou úhrady LP SOLIRIS postupem dle ustanovení § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění v následujících pěti letech. V případě změny klinické praxe (pacienti by byli léčeni pouze BSC) by dopad na rozpočet mohl být až ve výši 195,3 mil. Kč až 143,7 mil. Kč v prvních pěti letech.

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

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 byla stanovena v dřívějším průběhu předmětného správního řízení, a to 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, frekvence intervalově

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny.