

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS304500/2023, datum: 23. 8. 2024

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek OPFOLDA (obsahující léčivou látku miglustat) je určený k souběžnému podání s LP POMBILITY (LL cipaglukosidáza alfa) pro léčbu pozdní formy Pompeho nemoci (PD). Miglustat stabilizuje aktivní formu enzymu a minimalizuje ztrátu aktivity enzymu v krevním oběhu.

Pompeho choroba (PD) je velmi vzácné dědičné onemocnění. Příčinou je mutace genu pro enzym (kyselá alfa glukosidáza), který rozkládá glykogen. Pokud je tento enzym v lidském organismu deficitní, nebo je jeho aktivita snižena, dochází ke kumulaci lysozomálního glykogenu v mnoha tkáních. Adultní forma Pompeho choroby je pomalu progredující, s širokou škálou příznaků, které se objevují kdykoli od 1 roku věku až do 6. dekády. V klinickém obraze dominuje progredující slabost proximálních svalů končetin s dominantním postižením dolních končetin a respirační obtíže, které vedou k invaliditě a závislosti na ventilátoru.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) OPFOLDA v registrační studii podaný spolu s LP POMBILITY prokázaly zlepšení motorických a respiračních funkcí u pacientů s pozdní formou PD. Na základě odborného hodnocení dospěl Ústav k závěru, že LP POMBILITY podaný spolu s LP OPFOLDA může rozšířit léčebné možnosti u dospělých pacientů s pozdní formou PD, které jsou v současné době omezeny jen na ERT pomocí rekombinantních enzymů avalglukosidáza alfa (NEXVIADYME) a alglukosidázou alfa (MYOZYME). Na základě dostupných podkladů považuje Ústav klinický přínos LP POMBILITY spolu s LP OPFOLDA oproti LP MYOZYME a LP NEXVIADYME v hodnocené indikaci za nejméně srovnatelný.

V průběhu správného řízení však nebylo prokázáno, že léčba přípravkem OPFOLDA v kombinaci s cipaglukosidázou alfa je obdobně nákladná ve srovnání s dostupnou hrazenou léčbou alglukosidázou alfa a avalglukosidázou alfa. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění je dle shromážděných důkazů v souladu s veřejným zájmem na zachování stability financování systému zdravotnictví. Ústav proto s ohledem na neprokázání nákladové efektivity vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepříznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku OPFOLDA 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.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP OPFOLDA bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, pokud ve správním řízení dojde k dohodě účastníků na snížení nákladů na přípravek. Je nezbytné aby ve správním řízení byly předloženy smlouvy o limitaci nákladů uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami. Pokud k tomuto nedojde, léčivé přípravky nebudou z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazeny.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS304500/2023

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Amicus Therapeutics Europe Limited**

Zástupce: **Value Outcomes s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: miglustat, perorální podání

ATC: A16AX06

Léčivý přípravek: OPFOLDA 65MG CPS DUR 4  
OPFOLDA 65MG CPS DUR 24

Držitel rozhodnutí o registraci: **Amicus Therapeutics Europe Limited**, Dublin, Irsko

## Posuzovaná indikace

Dlouhodobá enzymová substituční terapie pozdní formy Pompeho nemoci u dospělých pacientů.

## Stanovisko k žádosti

Klinické důkazy pro průkaz účinnosti a bezpečnosti přípravku OPFOLDA, podávaného spolu s přípravkem POMBILITI s obsahem cipaglukosidázy alfa u dospělých pacientů s pozdní formou PD, považuje Ústav za dostatečné. V požadované indikaci jsou již hrazeny z prostředků veřejného zdravotního pojištění LP MYOZYME a LP NEXVIADYME. Ústav na základě dostupných podkladů považuje klinický přínos posuzovaného přípravku (podaného spolu s LP POMBILITI) oproti LP MYOZYME a LP NEXVIADYME v hodnocené indikaci za nejméně srovnatelný.

Ústav nenalezl v předložených farmakoekonomických analýzách zásadní nedostatky znemožňující vyhodnocení. Léčivý přípravek OPFOLDA nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť náklady na hodnocenou intervenci převyšují náklady na komparátory. Při zohlednění navrženého finančního ujednání by bylo možné LP OPFOLDA v kombinaci s cipaglukosidázou alfa považovat za nákladově efektivní.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku OPFOLDA odhaduje 2 až 8 léčených pacientů ročně a ukazuje výsledek ve výši 4,7 až 17,0 milionů Kč v prvních pěti letech. S ohledem na shromážděné důkazy je finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění v souladu s veřejným zájmem na zachování stability financování systému zdravotnictví.

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

## Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP

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 není stanovena. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, může být stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	MFC (Kč)
0271798	OPFOLDA	65MG CPS DUR 4	5 500,00	<b>4 455,51</b>	5 865,76
0271799	OPFOLDA	65MG CPS DUR 24	35 000,00	<b>26 733,03</b>	31 500,77

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

18,5714 mg/den.

## Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, může být stanovena následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny LP OPFOLDA 65MG CPS DUR 24 v EU zjištěné v Rakousku.

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)
0271798	OPFOLDA	65MG CPS DUR 4	3 137,68	<b>3 137,68</b>	3 744,65
0271799	OPFOLDA	65MG CPS DUR 24	18 826,08	<b>18 826,08</b>	22 467,87

## Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, mohou být podmínky úhrady stanoveny následovně:

**S/J4**

*P: Miglustat je hrazen v kombinaci s cipaglukosidázou alfa k léčbě dospělých s potvrzenou diagnózou pozdní formy Pompeho nemoci (deficit kyselé alfa-glukosidázy).*