

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS304513/2023, datum: 23. 8. 2024

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek POMBILITI (obsahující léčivou látku cipaglukosidáza alfa) je určen k enzymatické substituční léčbě (ERT) dospělých pacientů s pozdní formou Pompeho nemoci.

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 lyzozomálního 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“) POMBILITI je rekombinantní DNA technologií vyrobený inovovaný enzym alfa-glukosidázy. Společné podání s miglustatem (MIG) minimalizuje pokles aktivity enzymu v krvi během infuze s předpokladem delšího působení. V registrační studii LP POMBILITI podaný spolu s MIG (LP OPFOLDA) prokázal zlepšení motorických a respiračních funkcí u pacientů s pozdní formou PD. Na základě odborného hodnocení dospěl Ústav k závěru, že LP POMBILITI 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 alglukosidáza alfa (MYOZYME). Na základě dostupných podkladů považuje Ústav klinický přínos LP POMBILITI 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 POMBILITI v kombinaci s miglustatem 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 nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku POMBILITI 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 POMBILITI 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: SUKLS304513/2023

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Amicus Therapeutics Europe Limited**

Zástupce: **Value Outcomes s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: cipaglukosidáza alfa, intravenózní podání

ATC: A16AB23

Léčivý přípravek: POMBILITI 105MG INF PLV CSL 1
POMBILITI 105MG INF PLV CSL 10
POMBILITI 105MG INF PLV CSL 25

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

Posuzovaná indikace

Dlouhodobá enzymatická substituční léčba dospělých pacientů s pozdní formou Pompeho nemocí (nedostatek kyselé alfa-glukosidázy).

Stanovisko k žádosti

Klinické důkazy pro průkaz účinnosti a bezpečnosti přípravku 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 OPFOLDA) oproti LP MYOZYME a LP NEXVIADYME v hodnocené indikaci za nejméně srovnatelný.

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

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku POMBILITI 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:

<i>Kód SÚKL</i>	<i>Název LP</i>	<i>Doplněk názvu</i>	<i>Návrh žadatele: maximální cena / balení (Kč)</i>	<i>Stanovisko Ústavu: maximální cena / balení (Kč)</i>	<i>MFC / balení (Kč)</i>
0271591	POMBILITI	105MG INF PLV CSL 1	40 000,00	33 290,30	38 991,80
0271592	POMBILITI	105MG INF PLV CSL 10	400 000,00	332 903,02	381 269,37
0271593	POMBILITI	105MG INF PLV CSL 25	950 000,00	832 257,55	951 731,99

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

107,1429 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 POMBILITI 105MG INF PLV CSL 1 v EU zjištěné v Rakousku.

<i>Kód SÚKL</i>	<i>Název LP</i>	<i>Doplňk názvu</i>	<i>Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)</i>	<i>Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)</i>	<i>Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)</i>
0271591	POMBILITI	105MG INF PLV CSL 1	27 877,08	27 877,08	32 807,74
0271592	POMBILITI	105MG INF PLV CSL 10	278 770,80	278 770,80	328 077,36
0271593	POMBILITI	105MG INF PLV CSL 25	696 927,00	696 927,00	820 193,40

Podmínky úhrady

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

S/J4

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