

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS234374/2023, datum: 23. 8. 2024

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek CAMZYOS (obsahující léčivou látku mavakamten, MAV) je určený k léčbě symptomatické hypertrofické obstrukční kardiomyopatie (oHCM) (New York Heart Association, NYHA, třída II-III) u dospělých pacientů, kteří nedostatečně reagují na standardní léčbu beta-blokátory nebo blokátory kalciových kanálů, nebo jako monoterapie u pacientů, u kterých léčba beta-blokátory nebo antagonisty kalciových kanálů není tolerována nebo je kontraindikována.

Hypertrofická kardiomyopatie (HCM) patří mezi nejčastější dědičná srdeční onemocnění. Je charakterizována přítomností nitrokomorové obstrukce spolu s diastolickou dysfunkcí, které se podílejí na symptomech onemocnění, zejména dušnosti, únavě, palpitacích, bolestech na hrudi, synkopách, ale také na vyšším riziku náhlé srdeční smrti (NSS) a vyšší roční mortalitě.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek CAMZYOS (ve spojení se standardní léčbou, pokud není kontraindikována) představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u dospělých pacientů v léčbě oHCM. Stejně tak u pacientů, u kterých není léčba beta-blokátory nebo antagonisty kalciových kanálů tolerována nebo je kontraindikována.

Přípravek podávaný společně se standardní léčbou (betablokátory nebo blokátory kalciových kanálů) má potenciál u pacientů s oHCM třídy II nebo III nedostatečně reagujících na léčbu první volby (betablokátory, blokátory kalciových kanálů) a u pacientů nevhodných k léčbě betablokátory či blokátory kalciových kanálů zlepšit třídu NYHA a tím i jejich výkonnost a kvalitu života.

Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba (BB, CCB). Předložené analýzy neprokázaly, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. 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.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty zařazení přípravku CAMZYOS do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální česká i zahraniční doporučení pro použití MAV u pacientů s oHCM.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku CAMZYOS 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, léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS234374/2023

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, IČ: 800030, Blanchardstown Corporate Park 2, D15 T867 Dublin, Irsko

Zástupce: Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.

Léčivá látka a cesta podání: mavakamten, perorální podání

ATC: C01EB24

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplňěk názvu
0271791	CAMZYOS	2,5MG CPS DUR 28
0271793	CAMZYOS	5MG CPS DUR 28
0271795	CAMZYOS	10MG CPS DUR 28
0271797	CAMZYOS	20MG CPS DUR 28

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG

Posuzovaná indikace

Léčba symptomatické hypertrofické obstrukční kardiomyopatie (oHCM) (New York Heart Association, NYHA, třída II-III) u dospělých pacientů, kteří nedostatečně reagují na standardní léčbou beta-blokátory nebo blokátory kalciových kanálů nebo jsou k ní kontraindikováni či jí netolerují.

Stanovisko k žádosti

Účinnost a bezpečnost MAV v léčbě oHCM u dospělých je doložena randomizovanou kontrolovanou klinickou studií fáze III (EXPLORER-HCM). Údaje z placebem kontrolované studie EXPLORER-HCM dokládají, že MAV u pacientů s oHCM třídy II nebo III nedostatečně reagujících na léčbu první volby (tzv. „standard of care“: betablokátory, blokátory kalciových kanálů) nebo u pacientů, kteří tuto léčbu netolerují či jsou k ní

kontraindikováni, klinicky i statisticky signifikantně zlepšuje třídu NYHA a tím i jejich výkonnost a kvalitu života. Statisticky a klinicky významně lepších výsledků ve prospěch MAV bylo dosaženo také v sekundárních sledovaných cílech (zlepšení o nejméně 1 funkční třídu NYHA, zlepšení LVOT po zátěži, a zlepšení kvality života související se zdravím). Bezpečnostní profil je akceptovatelný. Předběžná data z dlouhodobého sledování naznačují setrvávání účinku i po 120 týdnech léčby, bez výskytu nových bezpečnostních rizik.

Analýza nákladové efektivity LP CAMZYOS ukazuje v posuzované indikaci ve srovnání se SoC ICER ve výši 1 840 595 Kč/QALY. Léčivý přípravek proto nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi. V případě uzavření smluvních ujednání navržených žadatelem by hodnocenou terapii bylo možno za nákladově efektivní považovat

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku CAMZYOS v posuzované indikaci odhaduje 465 až 2 105 celkem léčených pacientů (465 až 405 pacientů zahajujících léčbu v daném roce) a ukazuje výsledek ve výši 204,0 až 718,2 milionů Kč v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné podklady považovat za souladný s veřejným zájmem.

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

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných 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

Maximální cena není stanovena.

Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, může být maximální cena stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: MC (Kč)	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	MFC (Kč)
0271791	CAMZYOS	2,5MG CPS DUR 28	35 845,86	34 452,97	40 320,03
0271793	CAMZYOS	5MG CPS DUR 28	35 845,86	34 452,97	40 320,03
0271795	CAMZYOS	10MG CPS DUR 28	35 845,86	34 452,97	40 320,03
0271797	CAMZYOS	20MG CPS DUR 28	35 845,86	34 452,97	40 320,03

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

1,0000 cps/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

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

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny LP CAMZYOS 2,5MG CPS DUR 28 v EU zjištěné v Nizozemsku.

Kód SÚKL	Název LP	Doplňek názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada/balení (Kč)	Stanovisko Ústavu jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada konečného spotřebitele / balení (Kč)
0271791	CAMZYOS	2,5MG CPS DUR 28	35 845,86	32 896,39	38 541,80
0271793	CAMZYOS	5MG CPS DUR 28	35 845,86	32 896,39	38 541,80
0271795	CAMZYOS	10MG CPS DUR 28	35 845,86	32 896,39	38 541,80
0271797	CAMZYOS	20MG CPS DUR 28	35 845,86	32 896,39	38 541,80

Podmínky úhrady

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

S

P: Mavakamten je hrazen jako přídatná terapie ke standardní léčbě beta-blokátory nebo antagonisty kalciových kanálů v léčbě symptomatické hypertrofické obstrukční kardiomyopatie (NYHA třída II-III) u dospělých pacientů, u kterých předchozí standardní léčba nebyla dostatečně účinná, nebo jako monoterapie u pacientů, u kterých léčba beta-blokátory nebo blokátory kalciových kanálů není tolerovaná nebo je kontraindikovaná.

U pacientů, u nichž se po 4–6 měsících užívání maximální tolerované dávky neprojeví žádná odpověď (např. žádné zlepšení symptomů, kvality života, tělesné výkonnosti, gradientu v LVOT), je třeba zvážit ukončení léčby.