

SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS305587/2023, datum: 20. 11. 2024

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) je určený k léčbě pacientů s neuromyelitis optica a onemocnění jejího širšího spektra (dále jen „NMOSD“), kteří jsou pozitivní na přítomnost protilátek proti akvaporinu-4 (dále jen „AQP4“).

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) ULTOMIRIS představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s NMOSD, kteří jsou pozitivní na přítomnost protilátek proti AQP4 oproti dostupné terapii azathioprinem. Přípravek má potenciál prodloužit dobu do výskytu relapsu, resp. snížit četnost relapsů.

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), jelikož je určen k léčbě vysoce závažného onemocnění a snižuje relativní riziko výskytu relapsu alespoň o 30 %. Výsledný dopad na rozpočet nelze považovat za souladný s veřejným zájmem.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku 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 doporučené postupy k terapii NMOSD i vyjádření České neurologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ULTOMIRIS nebude v další fázi správního řízení přiznána dočasná úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění těmto pacientům 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: SUKL305587/2023

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, intravenózní

ATC: L04AJ02

Léčivý přípravek: ULTOMIRIS 300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML

Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS, IČ: 484251046, 103-105 rue Anatole France, 92300 Levallois-Perret, Francouzská republika

Posuzovaná indikace

Léčba pacientů s neuromyelitis optica a onemocnění jejího širšího spektra, kteří jsou pozitivní na přítomnost protilátek proti akvaporinu-4 (dále jen „AQP4“).

Stanovisko k žádosti

Žadatel předložil klinická data z otevřené, jednoramenné studie CHAMPION-NMOSD provedené u dospělých pacientů s NMOSD, kteří jsou pozitivní na přítomnost protilátek proti AQP4 a ukazují u hodnocené intervence snížení relativního rizika výskytu relapsu o 98,6 % oproti ramenu s externím placebem ze studie PREVENT. V režimu obchodního tajemství žadatel dále doplnil adjustované nepřímé srovnání ravulizumabu v monoterapii oproti podskupině pacientů s azathioprinem, přičemž účinnost hodnocené léčby zůstává obdobná jako u celkové populace. Předložené klinické podklady považuje Ústav pro účely stanovení dočasné úhrady za akceptovatelné. Přípravek ULTOMIRIS (s obsahem ravulizumabu) splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), jelikož je určen k léčbě vysoce závažného onemocnění a snižuje relativní riziko výskytu relapsu alespoň o 30 % (pro parametr relativní riziko výskytu relapsu byl doložen přínos na kvalitu života pacientů).

Předložená analýza nákladové efektivity léčivého přípravku ULTOMIRIS obsahuje limitace, které Ústavu neumožňují s dostatečnou mírou jistoty nákladovou efektivitu vyhodnotit. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci. Ústav doplňuje, že pro přiznání dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 17 až 48 celkem léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 120,9 až 271,0 milionů Kč v prvních pěti letech. S ohledem na vyjádření VZP výsledný dopad na rozpočet nelze 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

Není změněna.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

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

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné v Rumunsku.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku/PZLÚ	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	96 702,13	79 443,87	91 717,64

Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů/finanční limitaci dopadu na rozpočet, mohou být podmínky úhrady stanoveny následovně:

S
P: Ravulizumab je hrazen u dospělých pacientů v léčbě neuromyelitis optica a onemocnění jejího širšího spektra (neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD), kteří jsou pozitivní na přítomnost protilátek proti akvaporinu-4 (AQP4), prodělali alespoň 1 relaps v předchozím roce, mají skóre EDSS (škála disability) ≤ 7. Léčba je ukončena při nesnášenlivosti nebo v případě život ohrožujícího relapsu na léčbě ravulizumabem.