

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS93568/2020, datum: 3. 11. 2020

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek HEMLIBRA (obsahující léčivou látku emicizumab) je určený k léčbě pacientů s hemofilií A (vrozený nedostatek faktoru VIII). Zatím je hrazen pouze pro skupinu pacientů s hemofilií A a prokázaným vysokým titrem inhibitoru faktoru VIII (nad 5 Bethesda jednotek). Nově je požadována úhrada pro pacienty s těžkou hemofilií A a bez průkazu inhibitoru faktoru VIII.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) HEMLIBRA představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace pacientů s hemofilií A oproti dostupné terapii, kterou jsou plazmatické či rekombinantní faktory VIII. K benefitům HEMLIBRY, ve srovnání s používanými plazmatickými nebo rekombinantními faktory VIII, patří subkutánní aplikace, redukce frekvence dávkování oproti léčivým přípravkům s obsahem faktoru VIII standardních i s prodlouženým účinkem a dále skutečnost, že zatím nebyl prokázán vznik protilátek či inhibitorů a účinnost emicizumabu tak není limitována přítomností inhibitorů FVIII.

Přípravek je v nově posuzované indikaci těžké hemofilie A bez průkazu inhibitoru faktoru VIII nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba plazmatickými či rekombinantními faktory VIII. Výsledky analýzy nákladové efektivity předložené žadatelem v režimu obchodního tajemství vycházely z nižších nákladů na hodnocenou intervenci navržených žadatelem a ukazovaly nižší celkové náklady na celoživotní léčbu hodnocenou intervencí oproti komparátoru. Při uplatnění snížených nákladů na předmětný léčivý přípravek dle scénáře předloženého v režimu obchodního tajemství je možné, na základě souhlasu plátců ze dne 23. 10. 2020, hodnocenou intervenci považovat za nákladově efektivní. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle vyjádření zdravotních pojišťoven akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení v části rozšíření hrazených indikací o pacienty s těžkou hemofilií A bez inhibitorů a navrhuje úhradu v této indikaci přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku HEMLIBRA v indikaci těžké hemofilie A bez průkazu inhibitoru faktoru VIII 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 zahraniční doporučené postupy k terapii hemofilie A i dostupné vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku HEMLIBRA bude přiznána úhrada pro pacienty s těžkou hemofilií A bez inhibitorů, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS93568/2020

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Roche Registration GmbH

Zástupce: ROCHE s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: emicizumab

ATC: B02BX06

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu
0222793	HEMLIBRA	30MG/ML INJ SOL 1X1ML
0222794	HEMLIBRA	150MG/ML INJ SOL 1X0,4ML
0222795	HEMLIBRA	150MG/ML INJ SOL 1X0,7ML
0222796	HEMLIBRA	150MG/ML INJ SOL 1X1ML

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Roche Registration GmbH

Posuzovaná indikace: Hemofilie A je dědičné onemocnění vázané na chromosom X, vedoucí k úplnému chybění nebo nedostatku koagulačního faktoru VIII. Pacienti jsou ohroženi častým krvácením.

Stanovisko k žádosti

Předložené klinické podklady prokázaly významný benefit přípravku HEMLIBRA v profylaxi krvácení u pacientů s hemofilií A s i bez inhibitoru faktoru VIII oproti současné léčbě léčivými přípravky s obsahem plazmatických nebo rekombinantních faktorů FVIII. V klinických studiích byla prokázána velice dobrá kontrola krvácení pacientů s těžkou hemofilií A s i bez přítomnosti inhibitorů faktoru FVIII. Ve všech dávkovacích režimech se u více než 50 % pacientů nevyskytlo krvácení vyžadující léčbu.

Žadatelem předložená analýza nákladové efektivity ukazovala vyšší celkové náklady na celoživotní léčbu hodnocenou intervencí o 185 207 577 Kč oproti komparátoru. Při uplatnění snížených nákladů na předmětný léčivý přípravek dle scénáře předloženého v režimu obchodního tajemství by bylo možné hodnocenou intervencí považovat za nákladově efektivní.

Výsledky analýzy nákladové efektivity předložené žadatelem v režimu obchodního tajemství vycházely z nižších nákladů na hodnocenou intervencí. S ohledem na souhlasná stanoviska plátců ze dne 23. 10. 2020 považuje Ústav tyto náklady za relevantní.

Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle vyjádření zdravotních pojišťoven akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústavu byla předložena informace, že účastníci řízení uzavřeli ujednání o limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP

Léčivý přípravek byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

K léčivému přípravku nebyla identifikována srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

V tomto správním řízení nebyla posuzována.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

16,0714 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena následovně.

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné v Dánsku a je následně ponížena na návrh žadatele.

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)	Stávající maximální úhrada / balení (Kč)
0222793	HEMLIBRA	30MG/ML INJ SOL 1X1ML	54 057,21	55 311,01	60 840,95	60 819,33
0222794	HEMLIBRA	150MG/ML INJ SOL 1X0,4ML	108 114,44	110 622,01	121 681,92	121 638,66
0222795	HEMLIBRA	150MG/ML INJ SOL 1X0,7ML	189 200,05	193 588,52	212 943,12	212 867,65
0222796	HEMLIBRA	150MG/ML INJ SOL 1X1ML	270 286,09	276 555,03	304 204,79	304 096,65

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

AE/HEM

P: Emicizumab je hrazen v rutinní profylaxi krvácivých epizod u nemocných:

- 1) s hemofilíí A s prokázaným vysokým titrem inhibitoru faktoru VIII (nad 5 Bethesda jednotek).
- 2) s těžkou hemofilíí A (vrozená deficience koagulačního faktoru VIII, FVIII méně než 1 %) bez inhibitorů faktoru VIII.