

## SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS29015/2020, datum: 18. 11. 2020

### Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek REVESTIVE obsahující léčivou látku teduglutid je určený k léčbě pacientů ve věku od 1 roku se syndromem krátkého střeva (Short Bowel Syndrome, SBS). SBS je závažné onemocnění obvykle postihující pacienty, kteří mají odstraněnu větší část tenkého střeva a jsou tak závislí na parenterální výživě (PV).

### Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) REVESTIVE představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u pacientů ve věku od 1 roku se SBS, kteří jsou po uplynutí adaptace stabilizováni na PV. Přípravek má potenciál u pacientů se SBS snížit nebo zcela ukončit závislost na PV a tím pádem redukovat výskyt komplikací spojených s dlouhodobou PV. Teduglutid na základě výsledků klinických studií podporuje obnovu a normální růst střeva a zvyšuje resorpční plochu střeva, což umožňuje snížení objemu parenterální výživy.

Ústav neshledal zásadní limitace klinických odborných podkladů (pro účely stanovení úhrady). Klinický přínos přípravku REVESTIVE pro populaci pacientů se SBS považuje Ústav za prokázaný.

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP). Zákonem stanovenou podmínkou pro stanovení dočasné úhrady je předložení závazků uzavřených mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami. Tyto závazky byly předloženy.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje úhradu stanovit.

### Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku REVESTIVE v indikaci léčba SBS u pacientů ve věku od 1 roku ve stabilním stavu po uplynutí období pooperační adaptace střeva 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 SBS.

### Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku REVESTIVE bude v další fázi správného řízení stanovena dočasná úhrada na 2 roky, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS29015/2020

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Shire Pharmaceuticals Ireland Limited

Zástupce: Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: teduglutid

ATC: A16AX08

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu
0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP
0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Shire Pharmaceuticals Ireland Limited

## Posuzovaná indikace

Léčba SBS u pacientů od 1 roku věku, kteří jsou ve stabilním stavu po období pooperační adaptace střeva.

## Stanovisko k žádosti

Léčivý přípravek REVESTIVE má status vysoce inovativního přípravku a představuje jedinou možnost farmakologické léčby SBS. Předložené klinické studie prokázaly účinnost a bezpečnost přípravku u dospělých i dětských pacientů. Podání REVESTIVE vedlo k redukci objemu přijímané PV i snížení počtu dní závislosti na PV.

Ústavem preferovaný základní scénář analýzy nákladové efektivity ukazuje výsledný ICER (poměr nákladů a přínosů) ve výši 14 637 642 Kč/QALY. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku REVESTIVE v posuzované indikaci odhaduje 18 až 34 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 72,1 až 88,8 milionů Kč v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet je očekávatelný.

Ústav doplňuje, že pro stanovení dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný, přičemž akceptovatelný dopad na rozpočet, a další náležitosti dané zákonem o veřejném zdravotním pojištění, musí být zajištěny smluvním ujednáním (závazkem pro vysoce inovativní léčivý přípravek) mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami, který byl předložen.

## 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 srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

## Maximální cena

Maximální je stanovena následovně (přípravek pro vzácná onemocnění):

Kód SÚKL	Název přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	<b>400 233,09</b>	450 005,33
0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	<b>210 481,15</b>	237 103,65

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

3,7500 mg/den

## Úhrada ze zdravotního pojištění

První dočasná úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně:

Úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné v Itálii (pro sílu 5 mg), resp. v Chorvatsku (pro sílu 1,25 mg).

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	395 146,14	<b>395 146,14</b>	444 297,77
0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	193 605,94	<b>193 605,94</b>	218 169,66

## Podmínky úhrady

### S

**P:** Teduglutid je hrazen k nepaliativní léčbě SBS-CIF (syndromu krátkého střeva-chronického střevního selhání):

1. Dospělým pacientům splňujícím ESPEN kritéria dle Pironiho 2018 PN1 – PN4, kdy adaptace střeva probíhá alespoň 6 měsíců, parenterální výživa je optimalizovaná a stabilizována a užívána alespoň 12 měsíců, minimálně 3 dny v týdnu a není již jiná možnost dosáhnout zlepšení funkce střeva.

Léčba teduglutidem je vždyhrazena u dospělých pacientů s možným rizikem nežádoucích účinků parenterální výživy:

- progresivní hepatopatie F 3 a méně a/ nebo
- zbývají nejvíce 3 centrální žilní vstupy a/ nebo
- metabolická kostní choroba.

U pacientů s Crohnovou nemocí musí být pacient při nasazení léčby v klinické remisi nejméně 12 týdnů.

2. Pediatrickým pacientům od 1 roku, kdy adaptace střeva probíhá alespoň 6 měsíců a parenterální výživa je optimalizována a stabilizována.

Léčba teduglutidem není hrazena u pacientů s aktivním maligním onemocněním nebo podezřením na malignitu a u pacientů s anamnézou výskytu maligního onemocnění GIT včetně hepatobiliárního systému a pankreatu v posledních pěti letech.

Léčba se ukončí kdykoliv z důvodu neakceptovatelné toxicity nebo pokud není dosaženo po 52 týdnech alespoň 20% redukce v objemu parenterální výživy.