

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS189762/2020, datum: 5. 5. 2021

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek XOSPATA (obsahující léčivou látku gilteritinib) je určený k léčbě pacientů s relabující či refrakterní akutní myeloidní leukémií s prokázanou mutací FLT3.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) XOSPATA představuje přidanou hodnotu u pacientů s relabující či refrakterní akutní myeloidní leukémií s prokázanou mutací FLT3 (s výjimkou pacientů s primárně refrakterním onemocněním, u kterých se na předchozí léčbě nepodařilo dosáhnout takové odpovědi, aby u nich mohla být provedena transplantace krvetvorných kmenových buněk) oproti dostupným režimům chemoterapie (a to vysoce intenzivním kombinačním režimům, jako je režim FLA-IDA, i oproti paliativním monoterapiím, jako je nízkodávkovaný cytarabin). Přípravek má potenciál statisticky i klinicky významně prodloužit očekávanou délku přežití léčených pacientů (v mediánu o 3,7 měsíců, což je o více než 60 %), významně snižuje pravděpodobnost úmrtí oproti standardním léčebným režimům.

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

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje stanovit dočasnou úhradu.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku XOSPATA 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 akutní myeloidní leukémie i vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

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

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS189762/2020

Léčivý přípravek

Žadatel: **Astellas Pharma Europe B.V.**

Zástupce: **Astellas Pharma s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: gilteritinib, perorální podání

ATC: L01EX13

Léčivý přípravek: XOSPATA, 40MG TBL FLM 84

Držitel rozhodnutí o registraci: **Astellas Pharma Europe B.V.**

Posuzovaná indikace

Akutní myeloidní leukemie (AML) je vzácné zhoubné onemocnění krvetvorby. Přítomnost mutace FLT3 je u AML nepříznivým faktorem, který se pojí s horšími vyhlídkami pacientů na přežití.

Stanovisko k žádosti

Robustní registrační randomizovaná kontrolovaná studie ADMIRAL dokládá významný klinický přínos léčby gilteritinibem pro celkové přežití pacientů v prvním relapsu onemocnění, a to ve srovnání s chemoterapií (u pacientů s primárně refrakterním onemocněním, u kterých se na předchozí léčbě nepodařilo dosáhnout takové odpovědi, aby u nich mohla být provedena transplantace krvetvorných kmenových buněk, nebyl klinický přínos pro účely stanovení úhrady dostatečně prokázán). Profil toxicity je v oblasti hematologické toxicity provázen zejména vyšším výskytem závažné neutropenie a anémie, nicméně jej lze vyhodnotit jako přijatelný. S ohledem na přínos terapie ve smyslu prodloužení očekávaného přežití pacientů o více než 40 % je splněno zákonné kritérium vysoké inovativnosti.

Ústavu byla předložena robustní a metodicky správně provedená ekonomická analýza nákladové efektivity, která ukázala náklady na 1 rok života v plné kvalitě ve výši cca 4,4 nebo 4,3 milionu Kč. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není ani v jednom ze scénářů srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi.

Nicméně LP XOSPATA je vyhodnocen jako vysoce inovativní, z tohoto důvodu není prokázání nákladové efektivity v tuto chvíli vyžadováno. Prokázání nákladové efektivity bude vyžadováno u případného stanovení trvalé úhrady.

Analýza dopadu na rozpočet ukázala 14 až 25 pacientů léčených v prvních pěti letech, což bude mít za následek dopad na rozpočet ve výši zhruba 43 až 75 milionů Kč v prvních pěti letech.

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

Ústav doplňuje, že pro přiznání 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 terapeutických 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 je stanovena následovně (jedná se o léčivý přípravek pro vzácná onemocnění - orphan).

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238673	XOSPATA	40MG TBL FLM 84	423 469,63	476 076,72

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

120,0000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Dočasná úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena následovně:

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

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238673	XOSPATA	40MG TBL FLM 84	457 550,84	464 635,95	514 315,84

Podmínky úhrady

Podmínky úhrady jsou stanoveny následovně:

S
P: Gilteritinib je hrazen jako monoterapie k léčbě dospělých pacientů s relabující akutní myeloidní leukemii s mutací FLT3 (typu FLT3-ITD nebo FLT3-TKD), v prvním relapsu onemocnění. Jedná se o pacienty o dobrém stavu výkonnosti, ECOG 0-1. Pacienti nesmějí vykazovat primární refrakteritu k předchozí léčbě (nedosažení odpovědi dostatečné pro provedení transplantace) a mutace FLT3 musí být prokázána před zahájením léčby gilteritinibem. Terapie je hrazena do progresu onemocnění, provedení transplantace hematopoetických kmenových buněk či do nepřijatelné toxicity dle toho, co nastane dříve.