

# SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS262168/2019, datum: 6. 1. 2021

## Hodnocení přípravku a pro jaké použití byl hodnocen

**Přípravek BLINCYTO (obsahující léčivou látku blinatumomab) je určený k léčbě pacientů s akutní lymfoblastickou leukémií** (rychle postupujícím nádorovým onemocněním krve), u kterých bylo po podání 3 bloků kombinační léčby dosaženo remise (ústupu) onemocnění, ale u kterých byla zjištěna přetrvávající přítomnost minimální zbytkové nemoci (přítomnost nádorových buněk v koncentraci  $\geq 1/1\ 000$  lymfocytů).

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek BLINCYTO představuje přidanou hodnotu u **definované skupiny** pacientů s **Philadelphia chromozom negativní CD19 pozitivní B-prekurzorovou akutní lymfoblastickou leukémií (ALL) v první kompletní remisi s minimální reziduální nemocí (MRN) vyšší nebo rovnou 0,1 %**. Přípravek má potenciál oddálit relaps (návrat) onemocnění a zlepšit naději pacientů na přežití. Přípravek je významně nákladnější než současná standardní léčba. Vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty, a proto Ústav přípravek mohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

**Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a pro pacienty v první kompletní remisi a MRN vyšší nebo rovnou 0,1 % navrhuje úhradu přiznat.**

Pro pacienty s minimální reziduální nemocí (MRN) v rozmezí 0,01 % - 0,1 % a pro pacienty ve druhé kompletní remisi (bez ohledu na hodnotu MRN), Ústav z důvodu **nedostatečnosti podkladů o klinickém přínosu (pro účely stanovení úhrady)**, úhradu nepřiznává.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku BLINCYTO do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií a farmakoeconomické 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 lymfoblastické leukémie.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku BLINCYTO bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, bude v další fázi správního řízení přiznána trvalá úhrada, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS262168/2019

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Amgen Europe B.V.**

Zástupce: **Amgen s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: blinatumomab, parenterální podání pro kontinuální nitrožilní infuzi

ATC: L01XC19

Léčivý přípravek: BLINCYTO 38,5MCG INF PCS SOL 1+1X10ML

Držitel rozhodnutí o registraci: **Amgen Europe B.V.**, 20080576, Minervum 7061, 4817ZK Breda, Nizozemské království

## Posuzovaná indikace

Akutní lymfoblastická leukémie (ALL) patří mezi vzácná onemocnění. Pro ALL z prekurzorů B-lymfocytů je charakteristická přítomnost antigenu CD19 na povrchu buněk. Proti tomuto antigenu je namířena protilátka blinatumomab.

V tomto správním řízení je hodnoceno podání blinatumomabu po zaléčení pacientů třemi bloky chemoterapie (2 bloky indukční léčby a 1 blok konsolidační léčby) v případě, že je u pacientů dosaženo kompletní odpovědi onemocnění, ale přetrvává u nich detekce velmi malých koncentrací nádorových buněk (tj. v případě positivity minimální zbytkové nemoci v koncentraci nejméně 0,01 % měřené ve 2 nezávislých cílech, nebo nejméně 0,1 % v 1 cíli).

## Stanovisko k žádosti

Klinická data o přínosu blinatumomabu (v první kompletní remisi s minimální reziduální nemocí (MRN) vyšší nebo rovnou 0,1 %) ve srovnání se standardním postupem (pokračování v chemoterapii s výhledem na transplantaci nebo bez transplantace) přináší tzv. „*propensity score*“ srovnání s historickou kohortou. Jedná se o důkaz nižší úrovně, než mají výstupy randomizovaných kontrolovaných studií, nicméně podle názoru Ústavu je možné tento důkaz akceptovat.

Analýza nákladové efektivity se zohledněním limitace hrazených cyklů léčby i žadatelem navrhané výše úhrady ukazuje v Ústavem preferovaných scénářích analýzy nákladově efektivní výsledky.

Předpokládaný dopad na rozpočet je ve výši 13 až 20 mil. Kč v prvních 5 letech. Dle shromážděných důkazů se jedná o akceptovatelný dopad na rozpočet.

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

Pro pacienty s minimální reziduální nemocí (MRN) v rozmezí 0,01 %-0,1 %, Ústav z důvodu nedostatečnosti podkladů o klinickém přínosu (pro účely stanovení úhrady), úhradu nepřiznává.

## 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 přípravku se v tomto řízení nemění.

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

18,6667 mcg / den

## Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně:

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

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
018700	BLINCYTO	38,5MCG INF PCS SOL 1+1X10ML	<b>54 834,58</b>	55 645,35	62 468,20

## Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

### S

**P:** Blinatumomab v monoterapii je hrazen v léčbě dospělých pacientů o stavu výkonnosti 0-1 dle ECOG s Philadelphia chromozom negativní CD19 pozitivní B-prekurzorovou akutní lymfoblastickou leukémií (ALL) v první kompletní remisi po podání nejméně 3 bloků intenzivní chemoterapie s přetrvávající pozitivitou minimální reziduální nemocí (MRN) nejméně 0,1 %. Terapie je hrazena do provedení následné alogenní transplantace, nepřijatelné toxicity nebo vyčerpání nejvýše dvou cyklů léčby (maximálního počtu 56 lahviček blinatumomabu), dle toho, co nastane dříve.