SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS320485/2020, datum: 3. 9. 2021

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek NATPAR (obsahující léčivou látku lidský rekombinantní parathormon) je určený k léčbě pacientů s chronickou hypoparathyreózou, kteří nejsou dostatečně kontrolováni samostatnou standardní léčbou. Jde o vzácné endokrinní onemocnění, při kterém příštítná tělíska produkují nedostatečné množství parathormonu, aby udržela koncentraci vápníku v normálních hodnotách.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) NATPAR představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s chronickou hypoparathyreózou oproti dostupné standardní terapii vápníkem a vitaminem D. Přípravek má potenciál zlepšit kompenzaci onemocnění.

V průběhu správního řízení bylo prokázáno, že mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami bylo uzavřeno navrhované cenové ujednání, s jehož zohledněním je možné považovat přípravek za nákladově efektivní intervenci.

Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje úhradu přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku NATPAR 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.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku NATPAR bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek bude z prostředků veřejného zdravotního pojištění 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: SUKLS320485/2020

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd.
Zástupce: Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: parathormon, humánní rekombinantní, subkutánní
ATC: H05AA03
Léčivý přípravek: NATPAR, 25MCG INJ PSO LQF 2; NATPAR, 50MCG INJ PSO LQF 2; NATPAR, 75MCG INJ PSO LQF 2; NATPAR, 100MCG INJ PSO LQF 2
Držitel rozhodnutí o registraci: Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd., Block 2 & 3, Miesian Plaza, 50 - 58 Baggot Street Lower, D02 Y754 Dublin 2, Irsko

Posuzovaná indikace

Přídatná léčba dospělých pacientů s chronickou hypoparathyreózou, kteří nejsou dostatečně kontrolováni samostatnou standardní léčbou.

Stanovisko k žádosti

Substituce rekombinantního lidského parathormonu je fyziologickou léčbou, přípravek NATPAR ovlivňuje základní mechanismus onemocnění. Přípravek NATPAR prokázal kontrolu kalcémie i dalších sledovaných parametrů kalciofosfátového metabolismu, jejich významné zlepšení, což umožnilo podstatné snížení dávek vápníku a vitaminu D, přípravek nezhoršuje renální funkce. Předpokládá se, že použití přípravku NATPAR sníží chronické komplikace onemocnění, zejména renální a v dlouhodobé rovině i kardiovaskulární. Limitací klinické evidence je zejména krátkodobý design dodaných podkladů.

Žadatelem předložená analýza nákladové efektivity splňuje minimální požadavky na kvalitu, nicméně Ústavem preferovaný základní scénář předložené analýzy ukazuje ICER ve výši 4,9 milionů Kč/QALY.

Žadatel předložil scénáře s navrženým finančním ujednáním. Na základě tohoto scénáře lze konstatovat, že při zohlednění navrženého cenového ujednání na hodnocený přípravek je možné hodnocenou intervenci považovat za nákladově efektivní.

Analýza dopadu na rozpočet ukazuje výsledek ve výši 69,6 až 161,9 milionů Kč v prvních pěti letech. Vzhledem k tomu, že Ústav obdržel souhlasná vyjádření plátců, považuje za prokázané, že stanovení úhrady nepovede k ohrožení veřejného zájmu a považuje dopad na rozpočet za akceptovatelný.

Ústavu byla předložena informace, že účastníci řízení uzavřeli ujednání o 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

Maximální cena je stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0222157	NATPAR	25MCG INJ PSO LQF 2	**130 848,40**	147 755,70
0222158	NATPAR	50MCG INJ PSO LQF 2	**130 848,40**	147 755,70
0222159	NATPAR	75MCG INJ PSO LQF 2	**130 848,40**	147 755,70
0222160	NATPAR	100MCG INJ PSO LQF 2	**130 848,40**	147 755,70

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

0,1000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU přípravku NATPAR 100MCG INJ PSO LQF 2 zjištěné na Kypru.

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)
0222157	NATPAR	25MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	**129 327,15**	145 341,01
0222158	NATPAR	50MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	**129 327,15**	145 576,96
0222159	NATPAR	75MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	**129 327,15**	145 812,91
0222160	NATPAR	100MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	**129 327,15**	146 048,86

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Parathyroidní hormon PTH (1-84) je hrazen jako přídatná léčba dospělých pacientů s chronickou hypoparathyreózou, kteří nejsou dostatečně kontrolováni samostatnou standardní léčbou.

Odpověď na léčbu je vyhodnocena po 24 týdnech, kdy v léčbě pokračují pacienti, kteří splnili všechna následující kritéria:

1) 50 % či vyšší snížení dávek perorálního kalcia oproti zahájení léčby,

2) 50 % či vyšší snížení dávek aktivního vitaminu D oproti zahájení léčby,

3) udržení stabilní hladiny celkového sérového kalcia korigovaného dle albuminu vyšší nebo rovné koncentraci při zahájení léčby a nižší nebo rovné horní hranici normálu (ULN).