

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS211494/2024, datum: 19. 2. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek ALTUVOCT (obsahující léčivou látku efanesoktokog alfa, EFA) je určený k a profylaxe krvácení u pacientů s hemofilií A (HA).

HA je vzácné dědičné onemocnění vázané na chromosom X, vedoucí k absenci nebo nedostatku koagulačního faktoru VIII (FVIII). Pacienti jsou ohroženi častým krvácením ať již vyprovokovaným úrazem nebo spontánním. Přibližně 90 % krvácivých epizod u hemofiliků představují krvácení do kloubů či svalů. Následkem může být rozvoj těžké hemofilické artropatie vedoucí k omezení hybnosti a invaliditě. HA je v současné době léčena formou substituční (FVIII) a nesubstituční (nefaktorová léčba. LP HEMLIBRA).

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (LP) ALTUVOCT představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s HA, jehož výhodou je aplikace 1x týdně při dosažení a udržení vysokých hladin FVIII, které zajistí minimální riziko krvácení.

V rámci správního řízení nebylo prokázáno, že přípravek splňuje podmínky účelné terapeutické intervence pro účely stanovení úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Předložené analýzy obsahují limitace, které neumožňují nákladovou efektivitu přípravku vyhodnotit. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění souladný s veřejným zájmem.

Ústav s ohledem na neprokázání nákladové efektivitě vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení LP ALTUVOCT do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií a farmakoekonomické analýzy nákladové efektivitě a dopadu na rozpočet, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku LP ALTUVOCT nebude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek nebude 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: SUKLS211494/2024

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Zástupce: Intl. Pharma Consulting, s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: pegcetakoplan, infuzní podání

ATC: B02BD02

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0272413	ALTUVOCT	250IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272414	ALTUVOCT	500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272415	ALTUVOCT	750IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272416	ALTUVOCT	1000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272417	ALTUVOCT	2000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272418	ALTUVOCT	3000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272419	ALTUVOCT	4000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET

Držitel rozhodnutí o registraci: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Posuzovaná indikace

HA je v současné době léčena formou substituční (FVIII) a nesubstituční (nefaktorová léčba). Substituční léčba spočívá v podávání chybějícího/defektního FVIII k dosažení hemostaticky dostatečné hladiny. Cílem je zástava krvácení a/nebo prevence jeho vzniku. Doporučeným standardem léčby je profylaktická substituční aplikace koncentrátů FVIII nebo nefaktorová léčba reprezentovaná protilátkou emicizumabem. Cílem profylaxe je trvale udržet hladiny faktorů minimálně nad 1 %, ideálně nad 2 %.

Stanovisko k žádosti

LP ALTUVOCT disponuje dostatečnými odbornými důkazy o terapeutické účinnosti a bezpečnosti při léčbě a prevenci krvácení u pacientů s těžkou formou HA. Výsledky nepřímého srovnání dokládají vyšší účinnost a obdobnou bezpečnost ve srovnání se standardem léčby – koncentráty FVIII se standardním nebo prodlouženým uvolňováním. S ohledem na četné limitace v nepřímém srovnání s emicizumabem lze na základě zatím dostupných podkladů předpokládat alespoň srovnatelnou účinnost a bezpečnost s emicizumabem.

V předmětném správním řízení tak nebylo prokázáno, že LP ALTUVOCT splňují podmínky účelné terapeutické intervence dle ustanovení § 15 odst. 6 písm. d) zákona o veřejném zdravotním pojištění.

V předložené analýze nákladové efektivity byly zjištěny závažné limitace, které neumožňují její spolehlivé vyhodnocení. Hodnocený léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 117 až 163 pacientů v prvních pěti letech a ukazuje výsledek ve výši -90,5 až -129,3 milionů Kč v prvních pěti letech (úspora). Uvedený výsledek dopadu na rozpočet není relevantní, vzhledem k nákladům na komparátor emicizumab, které jsou ovlivněny uzavřenými limitacemi nákladů. S ohledem na shromážděné důkazy považuje Ústav dopad na rozpočet za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

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

LP nepodléhají regulaci maximální cenou.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

536 IU/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.