

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS187256/2020, datum: 12. 11. 2020

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek EMPLICITI (obsahující léčivou látku elotuzumab) je určený k léčbě pacientů s relabujícím / refrakterním mnohočetným myelomem (RRMM), kteří již podstoupili alespoň dvě předchozí terapie zahrnující lenalidomid a inhibitor proteazomu a jejichž onemocnění progredovalo během poslední terapie.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) EMPLICITI podávaný v rámci kombinačního terapeutického režimu elotuzumab + pomalidomid + dexamethason představuje přidanou hodnotu u pacientů s mnohočetným myelomem předléčeným inhibitorem proteazomu (bortezomibem či karfilzomibem) a lenalidomidem oproti hrazené dvoukombinaci pomalidomid + dexamethason. Přínos oproti dalším hrazeným režimům (což je u podskupiny pacientů předléčených  $\geq 3$  liniemi léčby daratumumab v monoterapii a u podskupiny pacientů bez refrakterity na bortezomib kombinační režim karfilzomib + dexamethason) nebyl doložen. Ve srovnání s režimem pomalidomid + dexamethason má přípravek potenciál snížit riziko úmrtí pacientů o více než 20 % (poměr rizika pro celkové přežití 0,54, což znamená snížení rizika o 46 %). Ke srovnání s dalšími trvale hrazenými komparátory není možné se k míře klinického přínosu s jistotou vyjádřit (nejsou k dispozici přímá ani nepřímá srovnání, ani metaanalýzy).

S ohledem na skutečnost, že nebyla prokázána míra klinického přínosu posuzovaného přípravku oproti všem relevantním hrazeným komparátorům, nelze mít za prokázané ani splnění odborných kritérií navržených žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP). Další zákonem stanovenou podmínkou pro přiznání dočasné úhrady je předložení závazků uzavřených mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami. Tyto závazky nebyly předloženy (nicméně bez odstranění výše uvedených nedostatků by samotné předložení závazků nemělo vliv na zhodnocení Ústavu).

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku EMPLICITI do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální doporučené postupy k terapii mnohočetného myelomu. Jelikož žádosti držitele rozhodnutí o registraci nebylo možné vyhovět s ohledem na skutečnost, že nebyla splněna žádná z podmínek daných ustanovením § 40 odst. 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. (ve srovnání s hrazenou terapií monoterapií daratumumabem a hrazenou kombinací karfilzomib + dexamethason), bylo hodnocení předložených farmakoekonomických analýz pro tuto indikaci bezpředmětné a Ústav se k nim dále nevyjadřoval.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku EMPLICITI nebude v další fázi správního řízení stanovena dočasná úhrada ze zdravotního pojištění, pokud žádný z účastníků řízení (zejména farmaceutická společnost) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS187256/2020

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG**

Zástupce: **Bristol-Myers Squibb spol. s r. o.**

Léčivá látka a cesta podání: elotuzumab, parenterální podání formou nitrožilní infúze

ATC: L01XC23

Léčivý přípravek: EMPLICITI, 300MG INF PLV CSL 1

EMPLICITI, 400MG INF PLV CSL 1

Držitel rozhodnutí o registraci: **Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG**

## Posuzovaná indikace

Mnohočetný myelom je vzácná zhoubná choroba, jejíž podstatou je přeměna B-lymfocytů v plazmatické buňky a jejich nekontrolované množení. Přežití pacientů s mnohočetným myelomem závisí na stádiu choroby, s dalšími relapsy jsou vyhlídky pacientů na přežití stále nižší.

## Stanovisko k žádosti

O klinickém přínosu přidání elotuzumabu (LP EMPLICITI) ke kombinačnímu režimu pomalidomid + dexamethason svědčí jedna méně robustní (celkem 117 pacientů randomizovaných do 2 ramen) nezaslepená randomizovaná kontrolovaná studie fáze 2, ELOQUENT-3, která doložila přínos terapie s elotuzumabem pro přežití léčených pacientů bez progresu (poměr rizik HR pro PFS 0,51 dle hodnocení nezávislé komise) i pro celkové přežití (HR pro OS 0,54). Část pacientů vhodných k terapii posuzovaným režimem (elotuzumab + pomalidomid + dexametazon) je však vhodná i k léčbě alternativními hrazenými režimy (karfilzomib + dexamethason, daratumumab v monoterapii) a porovnání účinnosti posuzovaného režimu s hrazenými alternativami terapie není pro tyto pacienty k dispozici.

Zákonem stanovenou podmínkou pro přiznání dočasné úhrady je dále předložení závazků uzavřených mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami. Tyto závazky nebyly předloženy.

Proto není možné vyhodnotit posuzovaný léčivý přípravek jako vysoce inovativní pro žadatelem navrženou cílovou populaci pacientů. Ústav z tohoto důvodu navrhuje s odkazem na ustanovení § 51 odst. 3 správního řádu žádost zamítnout, jelikož žádosti žadatele (o stanovení první dočasné úhrady LP EMPLICITI s přiznáním statutu vysoké inovativnosti) nelze vyhovět.

## 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 není předmětem řízení.

### Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

53,5714 mg/den

### Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

### Podmínky úhrady

Podmínky úhrady nestanoveny.