

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS274531/2020, datum: 4. 3. 2021

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek OCALIVA (obsahující léčivou látku kyselinu obeticholovou) je určený k léčbě pacientů s primární biliární cholangitidou. Jedná se o vzácné autoimunitní zánětlivé onemocnění žlučových cest.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek OCALIVA (dále jen „přípravek“) v kombinaci s kyselinou ursodeoxycholovou (UDCA) u dospělých pacientů s nedostatečnou odpovědí na UDCA, nebo v monoterapii u dospělých pacientů, kteří netolerují léčbu UDCA, představuje přidanou hodnotu u dospělých s primární biliární cholangitidou, a to ve srovnání se samotnou UDCA či se stavem bez léčby. Přípravek má potenciál snížit riziko transplantace jater a smrti z důvodu jaterního onemocnění.

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 úhradu přiznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku OCALIVA 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 primární biliární cholangitidy.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku bude v další fázi správného řízení přiznána dočasná úhrada na 1 rok, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS274531/2020

## Léčivý přípravek/ potravina pro zvláštní lékařské účely a žadatel

Žadatel: Intercept Pharma International Ltd.

Zástupce: VALUE OUTCOMES s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: kyselina obeticholová, perorální

ATC: A05AA04

Léčivý přípravek: OCALIVA, 5MG TBL FLM 30 a OCALIVA, 10MG TBL FLM 30

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce:

Intercept Pharma International Ltd., IČ: 634539, Ormond Building, 31-36 Ormond Quay Upper, D02 T380 Dublin 7, Irsko

## Posuzovaná indikace

Primární biliární cholangitida - vzácné chronické autoimunitní progresivní cholestatické onemocnění, hlavním rysem onemocnění je nehnisavá chronická destruuující cholangitida. Zánět žlučových cest vede k jejich obstrukci, akumulaci žlučových kyselin v játrech a vývoji fibrózy, cirhózy s následným ascitem a portální hypertenzí, nebo k vývoji hepatocelulárního karcinomu.

## Stanovisko k žádosti

Na základě výsledků randomizované, dvojitě zaslepené, placebem kontrolované 12měsíční studie fáze III bylo prokázáno signifikantní snížení rizika vzniku „end-stage liver disease (ESLD)“ – tedy rizika transplantace a smrti z důvodu jaterního onemocnění.

Léčivý přípravek OCALIVA byl posouzen jako vysoce inovativní léčivý přípravek:

a) u populace pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu UDCA (ursodeoxycholovou kyselinou) v souladu s ustanovením § 40 odst. 2 písm. c) bodu 2 a 4 vyhlášky č. 376/2011 Sb., protože se jedná o přípravek s klinicky vyšší účinností určenou podle § 27 odst. 2 obdobně;

b) u populace pacientů vůči UDCA intolerantních v souladu s ustanovením § 40 odstavec 2 písm. c) bod 1 vyhlášky č. 376/2011 Sb., protože u této skupiny pacientů nemá alternativu trvale hrazenou z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

Analýza nákladové efektivity léčivého přípravku OCALIVA v kombinaci s kyselinou ursodeoxycholovou (UDCA) ve srovnání s komparátorem UDCA+placebo v indikaci terapie primární biliární cholangitidy u populace pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu UDCA ukazuje ICER ve výši 2 058 611 Kč/QALY. Pro monoterapii léčivého přípravku OCALIVA ve srovnání s placebem u populace pacientů netolerujících UDCA je výše ICER 1 702 941 Kč/QALY. Hodnocený léčivý přípravek s ohledem na výsledky analýz není nákladově efektivní.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku OCALIVA v kombinaci s UDCA ve srovnání s komparátorem UDCA+placebo v indikaci terapie primární biliární cholangitidy odhaduje 131 až 189 léčených pacientů a dopad na rozpočet 109,9 až 157,7 mil. 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 v předchozím správním řízení o stanovení první dočasné úhrady sp. zn. SUKLS61208/2017.

## 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

Stanovení maximální ceny není předmětem tohoto správního řízení.

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

10 mg/den.

## Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena dočasná na 1 rok následovně.

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné ve Slovinsku.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku/PZLÚ	Doplňek názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)	Stávající maximální úhrada / balení (Kč)
0219167	OCALIVA	5MG TBL FLM 30	60 905,89	<b>60 905,89</b>	69 280,21	74 729,31
0219168	OCALIVA	10MG TBL FLM 30	60 905,89	<b>60 905,89</b>	69 280,21	74 729,31

## Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

**S**

**P:** Přípravek OCALIVA je hrazen při léčbě primární biliární cholangitidy (označované též primární biliární cirhóza) v kombinaci s kyselinou ursodeoxycholovou u dospělých pacientů s nedostatečnou odpovědí na kyselinu ursodeoxycholovou, nebo v monoterapii u dospělých pacientů, kteří netolerují léčbu kyselinou ursodeoxycholovou. Léčba je zahájena při splnění jedné z následujících podmínek:

1) Sérová aktivita ALP vyšší než 1,67 x horní hranice normy a/nebo zvýšená sérová koncentrace celkového bilirubinu nižší než 2 x horní hranice normy, a to při minimálně 12 měsících trvající léčbě ursodeoxycholovou kyselinou v terapeutických dávkách.

2) V dokumentaci je doložena intolerance kyseliny ursodeoxycholové.

Léčba je ukončena při splnění jedné z následujících podmínek:

1) Pokud ve 3. měsíci léčby nedošlo k poklesu o více než 10% výchozí sérové aktivity ALP.

2) Pokud je ve 12. měsíci nepřerušované léčby kyselinou obeticholovou (a dále každých následujících 6 měsíců, tj. v 18. měsíci, 24. měsíci atd.) sérová aktivita ALP vyšší než 1,67 x horní hranice normy a/nebo sérová koncentrace celkového bilirubinu vyšší než horní hranice normy.

3) Pokud se kdykoli v průběhu léčby objeví závažné nežádoucí účinky.

Úspěšnost terapie musí být pravidelně přehodnocena po 3, 6 a 12 měsících léčby (a dále každých 6 měsíců) a musí být zaznamenána ve zdravotnické dokumentaci.