

SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS328237/2019, datum: 21. 9. 2020

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek TAKHZYRO (obsahující léčivou látku lanadelumab) je určený k rutinní prevenci atak u pacientů s hereditárním angioedémem, což je dědičné onemocnění, pro které je charakteristická tvorba nebolestivých, nespědivých otoků podkoží a sliznic.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek TAKHZYRO představuje přidanou hodnotu u pacientů s hereditárním angioedémem v plném rozsahu schválené registrace. Přípravek má potenciál snižovat počet atak hereditárního angioedému. Přípravek je významně nákladnější než současná standardní léčba. Zda jsou vyšší náklady v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty nebylo prokázáno, protože v předložené analýze nákladové efektivity byly zjištěny závažné nedostatky. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje potenciálně vysoký finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění v kontextu daného onemocnění, což není v souladu s veřejným zájmem na zachování stability financování systému zdravotnictví.

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 TAKHZYRO 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 hereditárního angioedému.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku TAKHZYRO nebude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen, pokud farmaceutická společnost nepředloží zásadní nový důkaz, který by stanovisko Ústavu změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS328237/2019

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Shire Pharmaceuticals Ireland Limited

Zástupce: Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: lanadelumab, parenterální (subkutánní injekce)

ATC: B06AC05

Léčivý přípravek: TAKHZYRO 300MG INJ SOL 1X2ML

Držitel rozhodnutí o registraci: Shire Pharmaceuticals Ireland Limited, IČ: 349143, Block 2 & 3 Miesian Plaza, 50 - 58 Baggot Street Lower, Dublin 2, Irsko

Posuzovaná indikace

Hereditární angioedém je dědičné onemocnění, pro které je charakteristická tvorba nebolestivých, nesvědivých otoků podkoží a sliznic. Otoky se rozvíjejí během několika hodin, přetrvávají obvykle déle než 12 hodin, často 2–3 dny, a poté spontánně vymizí. Nejčastěji postihují podkoží v oblasti obličeje, končetin a genitálu, postižení gastrointestinálního traktu vede ke křečovitým bolestem, které bývají provázeny zvracením a vodnatými průjmy. Nejvíce rizikový je vznik otoku v oblasti laryngu, uvuly, měkkého patra či jazyka, které mohou bez adekvátní pomoci končit úmrtím. Léčivý přípravek TAKHZYRO je určen pro rutinní prevenci těchto atak.

Stanovisko k žádosti

Lanadelumab prokázal benefit oproti placebo ve sledovaných parametrech (snížení počtu atak, snížení počtu atak vyžadujících akutní léčbu a snížení počtu středně závažných a závažných atak). Klinické podklady jsou bez zásadních limitací.

Výsledek analýzy nákladové efektivity v základním scénáři nelze považovat za relevantní, neboť byl založen na nesprávném výběru časového horizontu, nesprávně zvoleném komparátoru, nedostatečně odůvodněném předpokladu snížení dávky při zachování účinku a na započtení disutility pečovatele bez předložení relevantních podkladů.

Kalkulovaný dopad na rozpočet odhaduje 14 až 33 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 131,3 až 300,5 milionů Kč v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet je s ohledem na dosavadní rozhodovací praxi Ústavu vysoký.

Ústavu nebyla předložena informace, že účastníci uzavřeli ujednání o 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

(přípravek pro vzácná onemocnění)

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238260	TAKHZYRO	300MG INJ SOL 1X2ML+STŘ+2J	332 783,97	374 327,41

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

ODTD byla stanovena ve výši 21,4286 mg/den.

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.