

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS63655/2021, datum: 6. 9. 2021

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek VYNDAQEL (obsahující léčivou látku tafamidis) je určený k léčbě pacientů s amyloidní kardiomyopatií, při níž dochází k závažným změnám srdce s příznaky srdečního selhání, dušnosti, únavy, snížené odolnosti k zátěži, infarktu myokardu. Jedná se o vysoce závažné onemocnění s nepříznivou prognózou.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek VYNDAQEL (dále jen „přípravek“) představuje přidanou hodnotu u definované skupiny pacientů s dědičnou transthyretinovou amyloidózou nebo transthyretinovou amyloidózou divokého typu u dospělých pacientů s kardiomyopatií (ATTR-CM) s funkční třídou NYHA I-III oproti dostupné standardní podpůrné terapii. Přípravek má potenciál zlepšit kompenzaci onemocnění, snížit úmrtnost pacientů a četnost kardiovaskulárních hospitalizací.

Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba. Předložené analýzy neprokázaly, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

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

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku VYNDAQEL 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 VYNDAQEL 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: SUKLS63655/2021

## Léčivý přípravek

Žadatel: Pfizer Europe MA EEIG

Zástupce: Pfizer, spol. s r.o.

Léčivá látka a cesta podání: tafamidis v mikronizované formě pro perorální aplikaci

ATC: N07XX08

Léčivý přípravek: VYNDAQEL, 61MG CPS MOL 30X1

Držitel rozhodnutí o registraci: Pfizer Europe MA EEIG, IČ: 696658156, se sídlem Boulevard de la Plaine 17, 1050 Brusel, Belgické království

## Posuzovaná indikace

Léčba dědičné transthyretinové amyloidózy nebo transthyretinové amyloidózy divokého typu u dospělých pacientů s kardiomyopatií (ATTR-CM) s funkční třídou NYHA I-III.

## Stanovisko k žádosti

Léčba tafamidisem je účinná a bezpečná, je spojena s klinicky významnou nižší mortalitou pacientů a četností kardiovaskulárních hospitalizací (oproti placebo). Tafamidis má taktéž prokázaný pozitivní efekt na fyzickou výkonnost pacientů.

Ústavem preferovaný základní scénář na základě předložené analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku VYNDAQEL v indikaci transthyretinové amyloidní kardiomyopatie u populace dospělých pacientů s postižením NYHA třídy I-III ve srovnání se standardní hrazenou léčbou ukazuje ICER ve výši 9,2 milionů Kč/QALY. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku VYNDAQEL ve srovnání se standardní hrazenou léčbou v indikaci transthyretinové amyloidní kardiomyopatie u dospělých pacientů s postižením NYHA třídy I-III odhaduje 60 až 220 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 260 až 953 milionů Kč v prvních pěti letech.

Ústavu nebyla 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 (jedná se o přípravek pro vzácná onemocnění).

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238843	VYNDAQEL	61MG CPS MOL 30X1	<b>318 318,92</b>	358 097,63

### Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

61 mg/den

### Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

### Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.