

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS345448/2021, datum: 21. 9. 2022

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek XELJANZ (obsahující léčivou látku tofacitinib) je určený k léčbě pacientů s polyartikulární juvenilní idiopatickou artritidou. Jde o skupinu chorob, které se v dětském věku projevují chronickou artritidou a různou mírou mimokloubních projevů v závislosti na podtypu onemocnění. Přípravek se používá v případech, kdy konvenční způsoby léčby nejsou dostatečně účinné a rovněž v případech nedostatečné účinnosti předchozí biologické léčby.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek XELJANZ (dále jen „přípravek“) má u pacientů s polyartikulární juvenilní idiopatickou artritidou, kteří již byli v minulosti léčeni biologickou léčbou (tzv. druhá linie biologické/cílené léčby) potenciál snížit aktivitu onemocnění a udržet onemocnění ve stavu nízké aktivity či inaktivní. Pro tuto linii léčby je žádáno o základní úhradu.

Ústav se zabýval posouzením základní úhrady pouze pro pacienty, u kterých není vhodné použít inhibitor TNF-alfa, a to s ohledem na stanovisko České reumatologické společnosti a na skutečnost, že pro tuto skupinu pacientů byla žadatelem dodána analýza nákladové efektivity.

Přípravek je u této skupiny pacientů významně nákladnější než současná standardní léčba. Vyšší náklady nejsou však v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty, a 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 vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu ve výše uvedené indikaci nepřiznat.

Přípravek XELJANZ byl u pacientů s polyartikulární juvenilní idiopatickou artritidou dosud neléčených biologickou léčbou (tzv. první linie biologické/cílené léčby) zhodnocen jako srovnatelně účinný s dostupnou terapií léčivými přípravky s obsahem léčivých látek adalimumab, etanercept a golimumab pro pediatrické použití. Pro tuto skupinu pacientů je žádáno o jednu další úhradu. Vzhledem k tomu, že pro první linii biologické/cílené léčby je žádáno o jednu další úhradu, nelze přiznat úhradu ani pro tuto linii léčby (bez existence úhrady základní).

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku XELJANZ 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 a stanovisko České pediatrické společnosti.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku XELJANZ bude v indikaci léčba polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy v další fázi správného řízení přiznána základní úhrada ve druhé linii biologické/cílené léčby při nevhodnosti použití inhibitoru TNF-alfa, pokud ve správním řízení dojde k dohodě účastníků na snížení nákladů na přípravek. Je

nezbytné, aby ve správním řízení byly předloženy smlouvy o limitaci nákladů uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami. Pokud k tomuto nedojde, léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen.

Pokud bude v další fázi správního řízení léčivému přípravku XELJANZ přiznána základní úhrada, bude mu stanovena i jedna další úhrada v první linii biologické/cílené léčby polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS345448/2021

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Pfizer Europe MA EEIG

Zástupce: Pfizer, spol. s r.o.

Léčivá látka a cesta podání: tofacitinib, perorální

ATC: L04AA29

Léčivý přípravek: XELJANZ 1MG/ML POR SOL 1X240ML+STRĚ

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

Posuzovaná indikace

Polyartikulární juvenilní idiopatická artritida je chronické, zánětlivé onemocnění, je skupinou chorob s rozmanitým klinickým obrazem i dlouhodobou prognózou, které se v dětském věku projevují chronickou artritidou a různou mírou mimokloubních projevů v závislosti na podtypu onemocnění a jejichž jednotícím prvkem je přítomnost chronické synovitidy.

Stanovisko k žádosti

V indikaci první linie biologické/cílené léčby polyartikulární idiopatické artritidy Ústav neshledal zásadní limitace předložených klinických podkladů a klinický přínos přípravku s obsahem léčivé látky tofacitinib (dosažení a/nebo udržení odpovědi na léčbu) u navržené populace považuje za prokázány. Na základě předložených podkladů lze předpokládat srovnatelnou účinnost tofacitinibu a léčivých přípravků s obsahem léčivých látek adalimumab, etanercept a golimumab pro pediatrické použití v první linii biologické/cílené léčby polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy.

V indikaci druhá linie biologické/cílené léčby polyartikulární idiopatické artritidy byla účinnost a bezpečnost tofacitinibu prokázána v klinické studii fáze III (podskupina biologickou léčbou předléčených pacientů). Ústav se zabýval posouzením základní úhrady pouze pro pacienty, u kterých není vhodné použít inhibitor TNF-alfa, a to s ohledem na stanovisko České revmatologické společnosti a na skutečnost, že pro tuto skupinu pacientů byla žadatelem dodána analýza nákladové efektivity.

Ústav nenalezl v předložených farmakoekonomických analýzách zásadní nedostatky znemožňující vyhodnocení. Předložená analýza nákladové efektivity ukazuje při srovnání tofacitinibu u pacientů, u kterých není vhodné použít inhibitor TNF-alfa, s nejlepší podpůrnou léčbou ICER (poměr nákladů a přínosů) ve výši 1,3 milionů Kč/QALY. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Žadatel předložil také scénář s navrženým finančním ujednáním. Výsledek scénáře leží pod hodnotou 1,2 milionů Kč/QALY. Scénáře nejsou relevantní pro zhodnocení nákladové efektivity, neboť ve správním řízení nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi žadatelem a zdravotními pojišťovnami reflektující náklady na hodnocenou intervenci dle návrhu žadatele.

Kalkulovaný dopad na rozpočet odhaduje 7 až 36 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 2,4 až 11,9 milionů Kč v prvních pěti letech. Vzhledem k tomu, že Ústav nedisponuje důkazem, podle kterého by stanovení úhrady vedlo k ohrožení veřejného zájmu, považuje dopad na rozpočet za akceptovatelný.

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

Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů a základní úhrada bude stanovena, může být stanovena i jedna další úhrada, a to v první linii biologické/cílené léčby polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy. Jedna další úhrada tofacitinibu je kalkulována dle nákladů na srovnatelně účinnou terapii léčivými přípravky s obsahem léčivých látek adalimumab, etanercept a golimumab pro pediatrické použití, proto má Ústav za to, že je nákladová efektivita zachována (jelikož nedojde k navýšení výdajů ze zdravotního pojištění oproti srovnatelně účinné terapii v dané linii). Dopad na rozpočet bude neutrální (jelikož se stejnými náklady jsou nyní pacienti léčeni léčivými přípravky s obsahem léčivých látek adalimumab, etanercept a golimumab pro pediatrické použití).

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP

Léčivý přípravek byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

K léčivému přípravku byla identifikována srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie:

- V indikaci první linie biologické/cílené léčby polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy se jedná o terapii léčivými přípravky s obsahem léčivých látek adalimumab, etanercept a golimumab pro pediatrické použití. Pro tuto indikaci je žádáno o stanovení jedné další úhrady.

Maximální cena

V současnosti nejsou splněny podmínky pro stanovení úhrady předmětného léčivého přípravku XELJANZ, proto Ústav nestanovuje předmětnému léčivému přípravku ani maximální cenu. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, může být maximální cena stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0255176	XELJANZ	1MG/ML POR SOL 1X240ML+STRĚ	18 817,28	22 056,79

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

10,0000 mg/den.

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, může být stanovena následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU LP XELJANZ 1MG/ML POR SOL 1X240ML+STRĚ zjištěné v Nizozemsku.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0255176	XELJANZ	1MG/ML POR SOL 1X240ML+STŘ	23 000,00	18 817,28	22 056,79

Základní úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena, proto není možné stanovit ani jednu další úhradu. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, může být jedna další úhrada stanovena následovně:

Jedna další úhrada se odvíjí od denních nákladů srovnatelně účinné terapie léčivými přípravky s obsahem léčivých látek adalimumab, etanercept a golimumab pro pediatrické použití.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0255176	XELJANZ	1MG/ML POR SOL 1X240ML+STŘ	10 126,10	7 867,22	10 163,43

Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny.

Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, mohou být podmínky úhrady stanoveny následovně:

Pro základní úhradu:

S

P: Tofacitinib je hrazen v léčbě aktivní polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy u dětí ve věku od 2 let s váhou nejméně 10 kg, u nichž nebylo dosaženo adekvátní terapeutické odpovědi na léčbu methotrexátem a alespoň jedním přípravkem ze skupiny inhibitorů TNF-alfa, a zároveň u kterých není vhodné použít další inhibitor TNF-alfa. Nevhodnost použití inhibitoru TNF-alfa musí být řádně zaznamenána a zdůvodněna ve zdravotnické dokumentaci pacienta.

Pro jednu další úhradu:

V

S

P: Tofacitinib je hrazen v první linii biologické/cílené léčby aktivní polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy u dětí ve věku od 2 let s váhou nejméně 10 kg, u nichž nebylo dosaženo adekvátní terapeutické odpovědi na léčbu methotrexátem, nebo u nichž nebyl methotrexát tolerován.