

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS272249/2024, datum: 4. 3. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) je určený k léčbě pacientů se závažným hematologickým onemocněním paroxysmální noční hemoglobinurie (dále jen „PNH“), což je vzácné závažné chronické onemocnění krvetvorby s rozpadem červených krvinek a vznikem krevních sraženin.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) ULTOMIRIS představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u pacientů s oproti dostupné a hrazené nejlepší podpůrné léčbě (BSC). Přípravek má potenciál snížit riziko úmrtí pacienta, snížit výskyt klinicky významných symptomů onemocnění a/nebo jejich tíži a zlepšit kvalitu života pacientů.

Přípravek nesplňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP).

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 ULTOMIRIS 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 paroxysmální noční hemoglobinurie.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ULTOMIRIS 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: SUKLS272249/2024

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Alexion Europe SAS

Zástupce: AstraZeneca Czech Republic s.r.o

Léčivá látka a cesta podání: ravulizumab, koncentrát pro infuzní roztok

ATC: L01AJ02

Léčivý přípravek: ULTOMIRIS, 300MG/3ML CNC SOL 1X3ML

Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS

Posuzovaná indikace

Léčba pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s paroxysmální noční hemoglobinurií s hemolýzou s klinickým příznakem (klinickými příznaky) svědčícím (svědčícími) o vysoké aktivitě onemocnění.

Stanovisko k žádosti

Klinická evidence ravulizumabu zahrnuje přímé srovnání s léčbou ekulizumabem u pacientů naivních na léčbu ekulizumabem a u pacientů předléčených ekulizumabem. Ravulizumab prokázal srovnatelnou účinnost a bezpečnost (noninferioritu) oproti ekulizumabu. Ravulizumab postrádá vlastní přímé klinické důkazy oproti BSC, vzhledem k prokázané noninferioritě Ústav akceptuje přenositelnost průkazu účinnosti ekulizumabu oproti BSC na ravulizumab oproti BSC. Ústav s akceptovatelnou mírou nejistoty předložených klinických podkladů považuje klinický přínos léčby LP ULTOMIRIS v léčbě paroxysmální noční hemoglobinurií s vysokou aktivitou onemocnění za prokázaný.

Po provedeném zhodnocení Ústav konstatuje, že posuzovaný LP ULTOMIRIS nesplňuje kritérium vysoce inovativního léčivého přípravku dle ustanovení § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění, neboť nebylo prokázáno, že v primárním klinicky významném cíli dosahuje léčba posuzovaným LP ULTOMIRIS s obsahem ravulizumabu alespoň 30 % zlepšení oproti hrazené léčbě BSC.

Pro hodnocení LP ULTOMIRIS nebylo prokázáno splnění kritéria vysoce inovativního léčivého přípravku dle ustanovení § 39d odst. 2 písm. b) zákona o veřejném zdravotním pojištění, neboť odkazované podklady neumožňují stanovit medián přežití pacientů s PNH (pacienti při 20letém sledování léčby BSC nedosahují střední doby celkového přežití), a tudíž nelze mít za prokázané, že léčba LP ULTOMIRIS prodlužuje střední dobu celkového přežití alespoň o 30 % v posuzované indikaci.

Posuzovaný léčivý přípravek ULTOMIRIS nelze vyhodnotit jako vysoce inovativní.

S ohledem na skutečnost, že Ústav nevyhodnotil dostupná data jako dostatečná pro přiznání statutu vysoké inovativnosti, nehodnotil ani předložené farmakoekonomické analýzy.

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

Maximální cena byla stanovena ve správním řízení sp. zn. SUKLS156868/2022, a to následovně:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	107 650,19	121 727,31

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 mg, frekvence intervalově

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.