

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS311724/2024, datum: 9. 5. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) je určený k léčbě pacientů se závažným onemocněním atypický hemolyticko-uremický syndrom (dále jen „aHUS“). Používá se u pacientů s klinickými příznaky onemocnění (anémie, pokles krevních destiček, poškození ledvin, srdce, trávicího ústrojí) s cílem těmto příznakům zamezit nebo je zmírnit.

Přípravek ULTOMIRIS je hodnocen v režimu **první dočasné úhrady**.

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 aHUS 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 splňuje odborná kritéria pro posouzení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP) daná ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění, protože v dostatečné míře bylo doloženo, že v hodnoceném primárním parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30 % zlepšení oproti hrazené léčbě.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje **první dočasnou úhradu přiznat**.

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 a farmakoekonomické analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální zahraniční doporučené postupy k terapii aHUS i dostupné odborné publikace předních českých specialistů v posuzované indikaci.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ULTOMIRIS bude v indikaci aHUS v další fázi správního řízení přiznána **první dočasná úhrada na 3 roky**, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS311724/2024

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 INF CNC SOL 1X3ML, kód SÚKL 0250232

Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS

Posuzovaná indikace

Léčba atypického hemolyticko-uremického syndromu

Stanovisko k žádosti

Klinická evidence LP ULTOMIRIS v indikaci aHUS vychází ze 2 otevřených jednoramenných studií. Ravulizumab postrádá přímé klinické srovnání oproti podpůrné léčbě (BSC). Vzhledem k tomu, že ravulizumab má srovnatelnou účinnost s ekulizumabem, akceptuje Ústav účinnost doloženou pro ekulizumabu oproti BSC na ravulizumab oproti BSC.

Po provedeném zhodnocení Ústav konstatuje, že posuzovaný přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako VILP, protože bylo doloženo, že v hodnoceném primárním parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě.

Výsledek analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku ULTOMIRIS v indikaci aHUS u populace pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší ve srovnání s BSC ukazuje ICER ve výši 8 229 177 Kč/QALY pro dospělou populaci a 4 865 967 Kč/QALY pro dětskou populaci. Léčivý přípravek tak v předmětné indikaci nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi. Ústav doplňuje, že pro přiznání dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný.

Analýza dopadu na rozpočet v indikaci aHUS u populace pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší odhaduje 33 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 192,0 až 138,1 milionů Kč v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné důkazy považovat za souladný s veřejným zájmem. Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP nebo PZLÚ

Léčivý přípravek byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

K léčivému přípravku ULTOMIRIS nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Stanovení maximální ceny není předmětem tohoto správního řízení.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 mg, frekvence intervalově

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena dočasná na 3 roky následovně.

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné v Lucembursku.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	95 490,82	95 490,82	110 049,67

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Ravulizumab je hrazen v léčbě pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem.