

SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS211494/2024, datum: 23. 6. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek ALTUVOCT (obsahující léčivou látku efanesoktokog alfa, EFA) je určený k a profylaxe krvácení u pacientů s hemofilií A (HA).

HA je vzácné dědičné onemocnění vázané na chromosom X, vedoucí k absenci nebo nedostatku koagulačního faktoru VIII (FVIII). Pacienti jsou ohroženi častým krvácením ať již vyprovokovaným úrazem nebo spontánním. Přibližně 90 % krvácivých epizod u hemofiliků představují krvácení do kloubů či svalů. Následkem může být rozvoj těžké hemofilické artropatie vedoucí k omezení hybnosti a invaliditě. HA je v současné době léčena formou substituční (FVIII) a nesubstituční (nefaktorová léčba. LP HEMLIBRA).

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (LP) ALTUVOCT představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s HA, jehož výhodou je aplikace 1x týdně při dosažení a udržení vysokých hladin FVIII, které zajistí minimální riziko krvácení.

Přípravek je při alespoň srovnatelných přínosech nákladnější intervencí ve srovnání s dostupnou hrazenou standardní léčbou LP HEMLIBRA po zohlednění nákladů na léčivý přípravek HEMLIBRA známých Ústavu z úřední činnosti. Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená léčba substitučními faktory VIII. 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 finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění souladný s veřejným zájmem.

Ústav 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 LP ALTUVOCT 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 LP ALTUVOCT bude v další fázi správného řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek bude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen, pokud bude dosaženo dohody s účastníkem řízení Všeobecnou zdravotní pojišťovnou.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS211494/2024

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Zástupce: Intl. Pharma Consulting, s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: *efanesoktokog alfa*, intravenózní podání

ATC: B02BD02

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplňěk názvu
0272413	ALTUVOCT	250IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272414	ALTUVOCT	500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272415	ALTUVOCT	750IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272416	ALTUVOCT	1000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272417	ALTUVOCT	2000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272418	ALTUVOCT	3000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET
0272419	ALTUVOCT	4000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET

Držitel rozhodnutí o registraci: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Posuzovaná indikace

HA je v současné době léčena formou substituční (FVIII) a nesubstituční (nefaktorová léčba). Substituční léčba spočívá v podávání chybějícího/defektního FVIII k dosažení hemostaticky dostatečné hladiny. Cílem je zástava krvácení a/nebo prevence jeho vzniku. Doporučeným standardem léčby je profylaktická substituční aplikace koncentrátů FVIII nebo nefaktorová léčba reprezentovaná protilátkou emicizumabem. Cílem profylaxe je trvale udržet hladiny faktorů minimálně nad 1 %, ideálně nad 2 %.

Stanovisko k žádosti

LP ALTUVOCT disponuje dostatečnými odbornými důkazy o terapeutické účinnosti a bezpečnosti při léčbě a prevenci krvácení u pacientů s těžkou formou HA. Výsledky nepřímého srovnání dokládají vyšší účinnost a obdobnou bezpečnost ve srovnání se standardem léčby – koncentráty FVIII se standardním nebo prodlouženým uvolňováním. Data z nepřímého srovnání s emicizumabem dokládají signifikantně nižší míru jakéhokoli krvácení a léčeného krvácení při léčbě LP ALTUVOCT. V případě spontánního krvácení a krvácení do kloubů nebyly

výsledky pro LP ALTUVOCT ve srovnání s emicizumabem signifikantní. Ústav považuje účinnost LP ALTUVOCT a emicizumabu na základě dostupných důkazů s ohledem na limitace za minimálně srovnatelně účinné.

V předmětném správním řízení tak nebylo prokázáno, že LP ALTUVOCT splňují podmínky účelné terapeutické intervence dle ustanovení § 15 odst. 6 písm. d) zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Analýza nákladové efektivity ve srovnání se substitučními koagulačními faktory VIII ukazuje ICER ve výši 179 807 800 milionů Kč/QALY.

Analýza nákladové efektivity ve srovnání s LP HEMLIBRA po zohlednění nákladů na léčivý přípravek HEMLIBRA známých Ústavu z úřední činnosti ukazuje, že hodnocená intervence je při alespoň srovnatelných přínosech nákladnější intervencí.

Hodnocený léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci. Při zohlednění navrženého finančního ujednání by bylo možné LP ALTUVOCT považovat za nákladově efektivní.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 117 až 163 pacientů v prvních pěti letech a ukazuje výsledek ve výši -90,5 až -129,3 milionů Kč v prvních pěti letech (úspora). Uvedený výsledek dopadu na rozpočet není relevantní, vzhledem k nákladům na komparátor LP HEMLIBRA, které jsou ovlivněny uzavřenými limitacemi nákladů. S ohledem na shromážděné důkazy považuje Ústav dopad na rozpočet za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a všemi zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů. Předložena byla pouze smlouva se Svazem.

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

LP nepodléhají regulaci maximální cenou.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

536 IU/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Pokud bude dosaženo dohody se všemi účastníky řízení bude úhrada posuzovaným LP stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR v SCAU (Kč)
0272413	ALTUVOCT	250IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET	6 239,50	6 239,50	7 188,06
0272414	ALTUVOCT	500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET	12 479,00	12 479,00	14 376,13
0272415	ALTUVOCT	750IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET	18 718,50	18 718,50	21 564,19
0272416	ALTUVOCT	1000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET	24 958,00	24 958,00	28 752,26
0272417	ALTUVOCT	2000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET	49 916,00	49 916,00	57 504,52
0272418	ALTUVOCT	3000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET	74 874,00	74 874,00	86 256,78
0272419	ALTUVOCT	4000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP+INF SET	99 832,00	99 832,00	115 009,04

Podmínky úhrady

Podmínky úhrady nejsou stanoveny. Pokud bude dosaženo dohody se všemi účastníky řízení budou stanoveny následovně:

AE/HEM

P:

Efanesoktokog alfa je hrazen v profylaxi a léčbě krvácivých stavů u nemocných s těžkou hemofilií A (vrozená nebo získaná deficeience koagulačního faktoru VIII, FVIII méně než 1 %) s výskytem inhibitoru proti faktoru VIII do 6 Bethesda jednotek.