

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS75830/2025, datum: 16. 7. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek HYMPAVZI (obsahující léčivou látku marstacimab, MAR) je určený k profylaxe krvácení u pacientů s těžkou hemofilií A (HA) a hemofilií B (HB).

HA a HB jsou v současné době léčeny formou substituční (FVIII, resp. FIX), HA dále nesubstituční (nefaktorovou) léčbou (LP HEMLIBRA). Výhodou přípravku HYMPAVZI je aplikace 1x týdně při dosažení a možnost subkutánního podání

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (LP) HYMPAVZI představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s HA nebo HB od 12 let věku v minimálně srovnatelné účinnosti v prevenci krvácení oproti dostupné léčbě substitučními faktory VIII a IX pro HA a HB a oproti dostupné léčbě emicizumabem pro HA.

V indikaci HA je přípravek při alespoň srovnatelných přínosech nákladnější intervencí ve srovnání s dostupnou hrazenou standardní léčbou emicizumabem (LP HEMLIBRA) po zohlednění nákladů na léčivý přípravek HEMLIBRA známých Ústavu z úřední činnosti. Přípravek je při alespoň srovnatelných přínosech rovněž nákladnější než dostupná hrazená léčba substitučními faktory VIII.

V indikaci HB je přípravek při alespoň srovnatelných přínosech nákladnější intervencí ve srovnání s dostupnou hrazenou standardní léčbou substitučními faktory IX. 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 HYMPAVZI do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinické studie 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 HYMPAVZI 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: SUKLS75830/2025

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Pfizer Europe MA EEIG

Zástupce: Pfizer, spol. s r.o.,

Léčivá látka a cesta podání: marstacimab, subkutánní podání

ATC: B02BX11

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML

Držitel rozhodnutí o registraci: Pfizer Europe MA EEIG

Posuzovaná indikace

Profylaxe krvácení u pacientů s těžkou hemofilií A (HA) a hemofilií B (HB).

HA a HB jsou vzácná dědičná onemocnění vázané na chromosom X, vedoucí k absenci nebo nedostatku koagulačního faktoru VIII (FVIII), resp. faktoru IX (FIX). 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.

Stanovisko k žádosti

LP HYMPAVZI disponuje dostatečnými odbornými důkazy o terapeutické účinnosti a bezpečnosti při prevenci krvácení u pacientů s těžkou formou HA a HB u pacientů od 12 let věku. Výsledky podkladové studie BASIS dokládají minimálně srovnatelnou účinnost a bezpečnost ve srovnání s profylaktickou léčbou substitučními faktory. Výsledky nepřímého srovnání u pacientů s HA dále dokládají srovnatelnou účinnost s emicizumabem.

Analýza nákladové efektivity u populace pacientů s HA ukazuje, že je hodnocená intervence ve srovnání s emicizumabem méně nákladná o 48,8 milionů Kč a ve srovnání s FVIII nákladnější o 71,9 milionů Kč. Scénáře nejsou relevantní pro zhodnocení nákladové efektivity, jelikož náklady na emicizumab (jak komparátor, tak i v následné léčbě) jsou ovlivněny existencí finančního ujednání. U populace pacientů s HB je přípravek HYMPAVZI ve srovnání s FIX nákladnější o 59,8 milionů Kč. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 9 léčených pacientů ročně u populace pacientů s HA a 2 pacienty ročně u populace s HB a ukazuje výsledek ve výši 29,0 až 25,6 milionů Kč (hemofilie A), resp. 9,6 až 8,8 milionů Kč

(hemofilie B), souhrnně tedy 38,6 až 34,5 milionů Kč v prvních pěti letech. Tento výsledek však nelze považovat za relevantní, s ohledem na existenci finančního ujednání na emicizumab. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na důkazy shromážděné ve spisepovažovat za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držitelem 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 nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

MC není stanovena.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

21,4286 mg

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.