SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS189701/2025, datum: 2. 9. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) je určený k přídatné léčbě ke standardní terapii u dospělých pacientů s generalizovanou myastenia gravis (gMG), kteří vykazují pozitivitu na protilátky proti acetylcholinovému receptoru (AChR).

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „LP“) ULTOMIRIS představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s gMG oproti placebu. Ústav v obecné rovině nerozporuje robustnost žadatelem předložené klinické evidence LP ULTOMIRIS. Výsledky klinického hodnocení naznačují potenciál ravulizumabu ze zlepšení klinického stavu pacienta s gMG a pozitivními protilátkami proti AChR.

LP ULTOMIRIS nesplňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), neboť nebyl prokázán jeho klinicky významný přínos v primárním parametru klinické studie (změna celkového skóre Myastenia Gravis Activities of Daily Living MG-ADL)

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje žádost zamítnout.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty zařazení LP ULTOMIRIS do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, dále vzal v potaz aktuální doporučené postupy k terapii myastenia gravis i vyjádření České neurologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP ULTOMIRIS nebude v další fázi správního řízení přiznána dočasná 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: SUKLS189701/2025

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Alexion Europe SAS**
Zástupce: **AstraZeneca Czech Republic s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: ravulizumab, nitrožilní
ATC: L04AJ02
Léčivý přípravek: ULTOMIRIS 300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML
Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS, IČ: 484251046, 103-105 rue Anatole France, 92300 Levallois-Perret, Francouzská republika

Posuzovaná indikace

Přídatná léčba ke standardní terapii u dospělých pacientů s generalizovanou myastenia gravis, kteří vykazují pozitivitu na protilátky proti acetylcholinovému receptoru.

Stanovisko k žádosti

O klinickém přínosu LP ULTOMIRIS svědčí výstupy randomizované, dvojitě zaslepené studie CHAPION-MG, jakož i dlouhodobé sledování účinků ravulizumabu v rámci již nezaslepeného pokračování studie CHAMPION-MG. Tyto podklady dokumentují příznivý efekt ravulizumabu na klinický stavu pacienta s gMG a pozitivními protilátkami proti AChR.

Výsledky studie CHAMPION-MG však nejsou dostatečné pro odůvodnění přínosu léčby LP ULTOMIRIS stran žadatelem požadovaného kritéria „primární klinicky významný cíl v klinické studii prokázal, že hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě“, neboť v primárním parametru - změna celkového skóre MG-ADL - nebyl rozdíl v účinnosti léčby ravulizumabem oproti placebu klinicky významný. Posuzovaný léčivý přípravek proto nesplňuje odborná kritéria vysoké inovativnosti daná ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů.

S ohledem na skutečnost, že Ústav vyhodnotil dostupná data jako nedostatečná pro přiznání statutu vysoké inovativnosti, nehodnotil ani předloženou analýzu dopadu do rozpočtu.

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 nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Není předmětem řízení.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.