

SOUHRN KE 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS192685/2025, datum: 6. 10. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ONUREG (obsahující léčivou látku azacitidin v perorální lékové formě) je určený k udržovací léčbě dospělých pacientů s akutní myeloidní leukémií (zhoubným nádorem z buněk bílé krevní řady), kteří po standardní léčbě dosáhli kompletní remise onemocnění a kteří nejsou způsobilí pro transplantaci hematopoetických kmenových buněk nebo transplantaci odmítají.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek ONUREG (dále jen „přípravek“) představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace pacientů s AML v kompletní remisi oproti pouhé observaci a podpůrné terapii. Přípravek má potenciál zvýšit šanci pacientů na přežití, prodloužit předpokládanou střední dobu přežití, snížit riziko relapsu onemocnění.

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), jelikož vede k prodloužení střední doby celkového přežití alespoň o 30 % oproti hrazené léčbě, nejméně však o 3 měsíce. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění souladný s veřejným zájmem.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje úhradu přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku ONUREG 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 doporučené postupy k terapii akutní myeloidní leukémie.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ONUREG bude v další fázi správního řízení přiznána druhá dočasná úhrada na 2 roky, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS192685/2025

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG**

Zástupce: **Bristol-Myers spol. s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: azacitidin, perorální podání (tablety)

ATC: L01BC07

Léčivý přípravek:

ONUREG 200MG TBL FLM 7

ONUREG 300MG TBL FLM 7

Držitel rozhodnutí o registraci: **Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG**

Posuzovaná indikace

Akutní myeloidní leukémie (AML) je vzácné onemocnění („orphan disease“), zároveň se jedná o nejběžnější formou akutních leukémií u dospělých. Její incidence stoupá s věkem - výrazné zvýšení výskytu AML je patrné po 60. roce věku, častěji bývají postiženi muži. Pětileté přežití pacientů s tímto onemocněním zůstává nepříznivé.

Registrační studie QUAZAR AML-001 prokázala, že rovněž AML ve stavu dosažené kompletní remise po první linii standardní terapie (indukce +/- konsolidace) významně zkracuje očekávanou délku života o více než 20 % (konkrétně z řádově -nácti let na necelé dva roky) a je tedy vysoce závažným onemocněním.

Stanovisko k žádosti

Údaje o přínosu udržovací monoterapie perorálním azacitidinem (přípravkem ONUREG) přináší poměrně robustní, dvojitě zaslepená, randomizovaná, placebem kontrolovaná studie QUAZAR AML-001, která doložila, že přípravek ONUREG prodlužuje střední dobu přežití léčených pacientů alespoň o 30 % a v měsících o více než 3 měsíce (doloženo prodloužení mediánu přežití o 9,9 měsíců). Jsou tedy naplněny požadavky jednoho ze zákonných ustanovení pro přiznání statutu vysoké inovativnosti (VILP).

Hodnocení nákladové efektivity není dle ustanovení § 39d odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění v případě stanovení druhé dočasné úhrady vysoce inovativního léčivého přípravku vyžadováno.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 32 až 40 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 87,30 až 208, 22 milionů Kč v prvních pěti letech. S ohledem na shromážděné důkazy ve správním řízení považuje Ústav dopad na rozpočet za v souladu s veřejným zájmem.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných 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 je stanovena následovně.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0255097	ONUREG	200MG TBL FLM 7	144 429,26	165 956,95
0255099	ONUREG	300MG TBL FLM 7	144 429,26	165 956,95

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

150,0000 mg/den

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 LP ONUREG 300 MG TBL FLM 7 zjištěné v Dánsku.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0255097	ONUREG	200MG TBL FLM 7	150 673,48	140 879,70	161 581,61
0255099	ONUREG	300MG TBL FLM 7	150 673,48	140 879,70	161 901,93

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Azacitidin v perorální formě (tablet) je hrazen v udržovací léčbě dospělých pacientů s diagnózou akutní myeloidní leukémie (AML) se středním či nepříznivým cytogenetickým rizikem, u nichž bylo prvoliniovou indukční léčbou (s konsolidační léčbou nebo bez ní) dosaženo kompletní remise (s kompletní i nekompletní úpravou krevního obrazu), a kteří nejsou způsobilí pro transplantaci hematopoetických kmenových buněk (HSCT), včetně pacientů, kteří se rozhodli HSCT nepodstoupit.

Azacitidin je hrazen do výskytu více než 15 % blastů v periferní krvi nebo kostní dřeni nebo do neakceptovatelné toxicity (co nastane dříve).