

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS210477/2025, datum: 21. 10. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek OMJJARA (obsahující léčivou látku momelotinib, MMB) je určen k léčbě splenomegalie a/nebo klinicky významných příznaků onemocnění u dospělých pacientů se středně závažnou až závažnou anémií, s primární myelofibrózou (PMF), postpolycytemickou myelofibrózou (post-PV MF) nebo myelofibrózou po esenciální trombocytemii (post-ET MF) se středním 2 nebo vysokým rizikem dle mezinárodního prognostického skóre pro tato onemocnění nebo se stejným onemocněním, které během času zprogredovalo do obdobného klinického stavu, a kteří byli léčeni ruxolitinibem (RUX).

Myelofibrózy (MF) jsou vzácná, závažná, chronická a progresivní myeloproliferativní hematologické onemocnění, která vedou k splenomegalii, anemii a zkrácené době přežití.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (LP) OMJJARA představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s MF a anemií po předchozí léčbě RUX, protože ve srovnání s nejlepší dostupnou léčbou (BAT – best available treatment), zahrnující především RUX (BAT/RUX), vede k větší redukci celkových příznaků onemocnění a k většímu podílu pacientů s dosažením transfuzní nezávislosti.

Předložené analýzy obsahují limitace, které neumožňují nákladovou efektivitu přípravku vyhodnotit. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Předložená analýza dopadu na rozpočet obsahuje limitace, které neumožňují dopad na rozpočet vyhodnotit.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení LP OMJJARA 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 OMJJARA 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: SUKLS210477/2025

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: GlaxoSmithKline Trading Services Limited

Zástupce: GlaxoSmithKline, s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: momelotinib, perorální podání

ATC: L01EJ04

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0272084	OMJJARA	100MG TBL FLM 30
0272085	OMJJARA	150MG TBL FLM 30
0272086	OMJJARA	200MG TBL FLM 30

Držitel rozhodnutí o registraci: GlaxoSmithKline Trading Services Limited

Posuzovaná indikace

MF se projevují cytopenií, včetně anémie, fibrózou kostní dřeně, splenomegalií, konstitučními symptomy (např. hubnutí, noční pocení, únava a horečka) a vedou ke zkrácené době přežití. Až u 20 % nemocných se rozvíjí akutní leukemie. Průměrný věk diagnózy je 67 let. Bez účinné léčby nedochází k žádné spontánní remisi.

MF jsou v současné době léčeny inhibitory Janus kináz (JAK inhibitory – ruxolitinib, fedratinib), které jsou indikovány u pacientů s MF se středním 2 nebo vysokým rizikem dle IPSS. Při terapii RUX však u některých pacientů může i nadále přetrvávat anemie. Zahraniční doporučení uvádí v tomto případě na prvním místě v druhé linii léčby po RUX při přetrvávající anemii podání MMB.

Stanovisko k žádosti

Účinnost a bezpečnost MMB vs BAT/RUX byla srovnávána v klinické studii SIMPLIFY 2 u populace dospělých pacientů se středně závažnou až závažnou anémií, s primární myelofibrózou (PMF), postpolycytemickou myelofibrózou (post-PV MF) nebo myelofibrózou po esenciální trombocytemii (post-ET MF), kteří byli předtím léčeni RUX. Analýza výsledků této studie prokázala non-inferioritu MMB a BAT/RUX v redukci velikosti sleziny (podíl pacientů s redukcí objemu sleziny 6,7 % vs 5,8 %) a vyšší účinnost MMB oproti BAT/RUX na zlepšení příznaků onemocnění a dosažení transfuzní nezávislosti u pacientů s anémií. Podíl pacientů se zlepšením příznaků onemocnění byl 26 % ve skupině s MMB ve srovnání s 6 % ve skupině s BAT/RUX ($p=0,0006$). Nezávislosti na transfuzích ve 24. týdnu dosáhlo 43,3 % pacientů ve skupině s MMB ve srovnání s 21,2 % ve skupině s BAT/RUX ($p=0,0012$).

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

V předložené analýze nákladové efektivity byly zjištěny závažné limitace, které neumožňují její spolehlivé vyhodnocení. Hodnocený léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Analýza dopadu na rozpočet obsahuje zásadní nedostatky, na základě nepřezkoumatelnosti vstupních dat nelze vypracovaný dopad na rozpočet považovat za relevantní.

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

LP nepodléhají regulaci maximální cenou.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

200,0000 mg

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.