

SOUHRN K 2 HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS75830/2025, datum: 26. 11. 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 bude v další fázi správního řízení v požadované indikaci přiznána úhrada, pokud ve správním řízení dojde k dohodě účastníků na snížení nákladů na přípravek. Je nezbytné, aby ve správním řízení byly předloženy smlouvy o limitaci nákladů uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami. Pokud k tomuto nedojde, léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen.

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	Doplňek 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. Při zohlednění navrženého finančního ujednání by bylo možné hodnocenou intervenci považovat za nákladově efektivní v celém rozsahu požadovaných podmínek úhrady, i při zohlednění nákladů na emicizumab známých Ústavu z úřední činnosti.

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 spise považovat 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.

Pokud bude dosaženo dohody se všemi účastníky řízení bude maximální cena stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku/PZLÚ	Doplňek názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML	153 961,58	176 846,67

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

21,4286 mg

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

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

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR v SCAU (Kč)
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML	153 961,58	153 961,58	176 846,67

Podmínky úhrady

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

AE/HEM

P: Marstacimab je hrazen v rutinní profylaxi krvácivých příhod u pacientů ve věku 12 let a starších, s tělesnou hmotností nejméně 35 kg, s

(a) těžkou hemofilií A bez inhibitoru faktoru VIII nebo

(b) těžkou hemofilií B bez inhibitoru faktoru IX.