

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS107968/2025, datum: 7. 11. 2025

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek BEYONTTRA (obsahující léčivou látku akoramidis) je určený k léčbě dospělých pacientů s transthyretinovou amyloidózou s kardiomyopatií, která vede k ukládání amyloidů v srdci a následně srdečnímu selhání a smrti.

Přípravek BEYONTTRA je hodnocen v režimu **první dočasné úhrady**.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) BEYONTTRA představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s transthyretinovou amyloidózou divokého typu s kardiomyopatií ve funkční třídě NYHA I a II oproti standardní léčbě srdečního selhání. Přípravek má potenciál dosáhnout alespoň 30% zlepšení v primárním kombinovaném sledovaném parametru četnosti výskytu úmrtí ze všech příčin, hospitalizací z kardiovaskulárních příčin, změně hladiny peptidu NT-proBNP a změně v testu 6minutové chůze oproti hrazené léčbě, přičemž bylo dostatečně doloženo, že kombinovaný parametr dosažení odpovědi má vliv na kvalitu života léčených pacientů. Taktéž bylo prokázáno, že přípravek dokáže prodloužit střední doby celkového přežití alespoň o 30 % oproti hrazené léčbě.

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP).

Pro přiznání dočasné úhrady v posuzované indikaci však v současnosti není naplněna podmínka souladu s veřejným zájmem podle ustanovení § 39d odst. 1 v návaznosti na ustanovení § 17 odst. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje první dočasnou úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku BEYONTTRA 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 zahraniční doporučené postupy k terapii kardiomyopatie a transthyretinové amyloidózy s kardiomyopatií.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku BEYONTTRA 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: SUKLS107968/2025

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Bayer AG**

Zástupce: **BAYER s.r.o.,**

Léčivá látka a cesta podání: akoramidis,

ATC: C01EB25

Léčivý přípravek: BEYONTTRA 356MG TBL FLM 120(6X10X2)

Držitel rozhodnutí o registraci: Bayer AG

Posuzovaná indikace

Léčba dospělých pacientů s transthyretinovou amyloidózou divokého typu s kardiomyopatií ve stádiu NYHA I a II

Stanovisko k žádosti

Ústav na základě odborného posouzení dospěl k závěru, že léčba akoramidisem významně zlepšuje klinické příznaky transthyretinové amyloidózy s kardiomyopatií u pacientů ve stádiu NYHA I a II, zároveň významně zlepšuje kvalitu života ve srovnání s placebem. Účinnost akoramidisu oproti léčbě hrazeným LP VYNDAQEL 61MG (tafamidis) lze na základě předloženého nepřímého srovnání považovat za srovnatelnou.

Dále Ústav konstatuje, že posuzovaný přípravek BEYONTTRA splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako VILP, protože bylo doloženo, že v hodnoceném primárním parametru (kombinujícím míru úmrtí ze všech příčin, hospitalizací z kardiovaskulárních příčin onemocnění, změnu hladiny NT-pro BNP a změnu ve funkčním 6minutovém testu chůze oproti výchozím hodnotám), který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě.

Předložené analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku BEYONTTRA (akoramidis) ve srovnání s komparátory (relevantní komparátor neléčba/podpurná léčba, v alternativním scénáři tafamidis) obsahují limitace, které Ústavu neumožňují s dostatečnou mírou jistoty nákladovou efektivitu vyhodnotit. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Ústav doplňuje, že pro přiznání dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný.

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

Ústavu nebyla předložena informace, že účastníci řízení uzavřeli ujednání o 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

Maximální cena není stanovena.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

1424,0000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.