

SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS311724/2024, datum: 27. 2. 2026

Hodnocení přípravku a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) je určený k léčbě pacientů se závažným onemocněním atypický hemolyticko-uremický syndrom (dále jen „aHUS“). Používá se u pacientů s klinickými příznaky onemocnění (anémie, pokles krevních destiček, poškození ledvin, srdce, trávicího ústrojí) s cílem těmto příznakům zamezit nebo je zmírnit.

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

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) ULTOMIRIS představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u pacientů s aHUS oproti dostupné a hrazené nejlepší podpůrné léčbě (BSC). Přípravek má potenciál snížit riziko úmrtí pacienta, snížit výskyt klinicky významných symptomů onemocnění a/nebo jejich tíži a zlepšit kvalitu života pacientů.

Přípravek splňuje odborná kritéria pro posouzení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP) daná ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění, protože v dostatečné míře bylo doloženo, že v hodnoceném primárním parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění souladný s veřejným zájmem.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje **první dočasnou úhradu přiznat**.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku ULTOMIRIS 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 aHUS i dostupné odborné publikace předních českých specialistů v posuzované indikaci.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ULTOMIRIS bude v indikaci aHUS v další fázi správního řízení přiznána **první dočasná úhrada na 3 roky**, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS311724/2024

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Alexion Europe SAS

Zástupce: AstraZeneca Czech Republic s.r.o

Léčivá látka a cesta podání: ravulizumab, koncentrát pro infuzní roztok

ATC: L01AJ02

Léčivý přípravek: ULTOMIRIS 300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML, kód SÚKL 0250232

Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS

Posuzovaná indikace

Léčba atypického hemolyticko-uremického syndromu

Stanovisko k žádosti

Klinická evidence LP ULTOMIRIS v indikaci aHUS vychází ze 2 otevřených jednoramenných studií. Ravulizumab postrádá přímé klinické srovnání oproti podpůrné léčbě (BSC). Vzhledem k tomu, že ravulizumab prokázal srovnatelnou účinnost s ekulizumabem, akceptuje Ústav důkazy o účinnosti ekulizumabu oproti BSC a považuje je za přenositelné na ravulizumab (oproti BSC).

Po provedeném zhodnocení Ústav konstatuje, že posuzovaný přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako VILP, protože bylo doloženo, že v hodnoceném primárním parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě.

Výsledek analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku ULTOMIRIS v posuzované indikaci ve srovnání s BSC ukazuje ICER ve výši 6 923 583 Kč/QALY pro dospělé populaci a 4 011 161 Kč/QALY pro dětskou populaci. Scénář zohledňující uzavřené finanční ujednání na LP ULTOMIRIS je příznivější, ale není srovnatelný s poměrem nákladů a přínosů jiných již hrazených terapeutických intervencí. Léčivý přípravek tak v předmětné indikaci nelze považovat za nákladově efektivní intervenci. Ústav doplňuje, že pro přiznání dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný.

Analýza dopadu na rozpočet v posuzované indikaci odhaduje 65 až 137 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 87,9 až 334,6 milionů Kč v prvních pěti letech. Při zohlednění uzavřeného finančního ujednání je výsledek analýzy dopadu na rozpočet příznivější. Ústav považuje s ohledem na shromážděné podklady výsledný dopad na rozpočet za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu byly 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 ULTOMIRIS nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Stanovení maximální ceny není předmětem tohoto správního řízení.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 mg, frekvence intervalově

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena dočasná na 3 roky následovně.

Základní úhrada se odvíjí od již stanovené úhrady pro předmětný léčivý přípravek v ČR.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	95 490,82	79 443,87	91 717,64

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Ravulizumab je hrazen v léčbě pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem.