

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS331622/2025, datum: 27. 4. 2026

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ISTURISA (obsahující léčivou látku osilodrostát) je určený k léčbě dospělých pacientů s endogenním Cushingovým syndromem, u nichž nebylo dosaženo dostatečné kontroly nemoci chirurgickým zákrokem nebo u nichž není chirurgický zákrok vhodný.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek ISTURISA (dále jen „přípravek“) představuje přidanou hodnotu u cílové skupiny pacientů s Cushingovým syndromem oproti stavu bez farmakologické léčby, což bylo prokázáno v laboratorních parametrech 24hodinové exkrece kortizolu v moči (mUFC) a hladiny kortizolu v krvi oproti placebo. Přípravek má potenciál dosažení kontroly nad sekrecí kortizolu u pacientů s endogenním Cushingovým syndromem.

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP). Přípravek má potenciál dosáhnout alespoň 30% zlepšení v primárním sledovaném parametru četnosti dosažení normalizace mUFC ve 12 týdnech od zahájení léčby oproti placebo, přičemž bylo dostatečně doloženo, že parametr mUFC má vliv na kvalitu života léčených pacientů.

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 úhradu nepřiznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku ISTURISA 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 endogenního Cushingova syndromu.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ISTURISA nebude v další fázi správního řízení přiznána dočasná 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: SUKLS331622/2025

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Recordati Rare Diseases Sarl**

Zástupce: **VALUE OUTCOMES s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání: osilodrostát, k perorálnímu podání (ve formě tablet)

ATC: H02CA02

Léčivý přípravek:

ISTURISA	1MG TBL FLM 60
ISTURISA	5 MG TBL FLM 60

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce:

## Posuzovaná indikace

Onemocnění endogenním Cushingovým syndromem, je vysoce závažným onemocněním, které pokud není adekvátně léčeno, významně zkracuje očekávanou délku života pacientů. Primárním cílem léčby je kompletní resekce nádoru, který je příčinou onemocnění. V případech relapsu nebo pokud není chirurgický zákrok proveditelný, je onemocnění hůře zvladatelné, terapeutickou možností je ozařování (jehož efekt však nabíhá postupně a se zpožděním) nebo farmakoterapie (např. posuzovaným léčivým přípravkem ISTURISA či jinými dostupnými, avšak standardně nehrazenými alternativami, které představují léčiva s obsahem metyraponu nebo ketokonazolu).

## Stanovisko k žádosti

Onemocnění endogenním Cushingovým syndromem ve stádiu, kdy nebylo dosaženo dostatečné kontroly nemoci chirurgickým zákrokem nebo pokud není chirurgický zákrok vhodný, je vysoce závažným onemocněním, jelikož zkracuje očekávanou délku života o více než 20 %. V základní studii LINC-4 bylo primárním sledovaným parametrem dosažení normalizace průměrné sekrece kortizolu v moči ( $mUFC \leq ULN$ ), což je dle dostupných podkladů parametr s dopadem na kvalitu života specifickou pro uvedené onemocnění. Ve studii LINC-4 dosáhlo primárního parametru 77 % pacientů zařazených do ramene s osilodrostátem a 8 % u pacientů zařazených do „placebo“ ramene, jedná se tedy o zlepšení v primárním parametru studie o více než 30 %.

Předložená analýza nákladové efektivity léčivého přípravku ISTURISA (osilodrostát) ve srovnání s komparátorem nejlepší podpůrná léčba (BSC) obsahuje 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 nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů..

### Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP

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 předmětem řízení.

### Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

10,0000 mg/den

### Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

### Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.