

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS340547/2025, datum: 25. 5. 2026

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivé přípravky (LP) REBLOZYL (obsahující léčivou látku luspatercept, LST) jsou určeny k léčbě dospělých pacientů s anémií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R), kteří dosud nebyli léčeni faktory stimulujícími erytropoezu. MSD představuje závažné onemocnění spojené s potřebou pravidelných transfuzí erytrocytů.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

LP REBLOZYL (dále jen „přípravek“) ve spojení s nejlepší podpůrnou léčbou představují přidanou hodnotu v plném rozsahu schválených indikací u dospělých pacientů v léčbě anémie v důsledku MSD u pacientů, kteří dosud nebyli léčeni faktory stimulujícími erytropoezu.

Přípravky podávané společně s nejlepší podpůrnou léčbou má potenciál u pacientů s MSD snížit potřebu transfuzí erytrocytů a zlepšit tak kvalitu života pacientů.

Přípravky splňují odborná kritéria pro posouzení jako vysoce inovativní léčivé přípravky (VILP) daná ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění, protože v dostatečné míře bylo doloženo, že v hodnoceném primárním parametru (snížení transfuzní zátěže), který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30 % zlepšení oproti hrazené léčbě. Zařazení přípravků 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 aspekty zařazení LP REBLOZYL do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravky na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální česká i zahraniční doporučení pro použití LST u pacientů s MSD. Klinický přínos LST v první linii léčby byl podpořen po vydání první hodnotící zprávy vyjádřením České hematologické společnosti a doložen daty z české klinické praxe.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP REBLOZYL bude v další fázi správného řízení přiznána první dočasná úhrada na 3 roky a LP budou z prostředků veřejného zdravotního pojištění dočasně hrazeny, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS340547/2025

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, IČ: 800030, Blanchardstown Corporate Park 2, D15 T867 Dublin, Irsko

Zástupce: Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.

Léčivá látka a cesta podání: luspatercept, intravenózní podání

ATC: B03XA06

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplňěk názvu
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG

Posuzovaná indikace

Léčba dospělých pacientů s anémií závislou na transfuzích v MDS velmi nízkého, nízkého a středního rizika, kteří dosud nebyli léčeni faktory stimulujícími erytropoezu.

Stanovisko k žádosti

Předložené klinické podklady prokázaly významný benefit LP REBLOZYL ve snížení transfuzní zátěže oproti současné léčbě představované faktory stimulujícími erytropoezu. V registračních studiích bylo prokázáno statisticky významné snížení transfuzní zátěže.

Posuzované LP splňují odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako VILP, 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.

Analýza nákladové efektivity LP REBLOZYL ve srovnání s ESA (epoetin alfa) ukazuje výsledek (ICER) ve výši 3,2 milionů Kč/QALY.

LP tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi. Ústav doplňuje, že pro přiznání dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný.

Analýza dopadu na rozpočet v posuzované indikaci anémie závislé na transfuzích v důsledku MDS odhaduje 123 až 129 léčených pacientů ročně a ukazuje výsledek ve výši 181 až 421 milionů Kč v prvních pěti letech. S ohledem na shromážděné důkazy ve správním řízení považuje Ústav dopad na rozpočet za v souladu s veřejným zájmem.

Ústavu byly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a VZP zajišťující limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP nebo PZLÚ

LP byly posouzeny jako nezaměnitelné s žádnou referenční skupinou.

K LP nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Není předmětem tohoto správního řízení.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

3,5714 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

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

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny LP REBLOZYL 75MG INJ PLV SOL 1 v EU zjištěné v Německu a České republice.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR v SCAU (Kč)
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1	23 650,81	23 650,81	27 339,01
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1	70 952,42	70 952,42	82 017,00

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Luspatercept je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóre IPSS-R), kteří dosud nebyli léčeni faktory stimulujícími erythropoezu. Léčba je ukončena, pokud dojde k progresi onemocnění definované jako progresse do akutní myeloidní leukemie nebo přechod do vyššího rizika nebo opětovný nárůst požadavků na transfuzi, tj., že dojde ke ztrátě účinnosti.