

## SOUHRN KE 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS90985/2025, datum: 26. 6. 2026

### Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ANDEMBRY (obsahující léčivou látku garadacimab) je určený k dlouhodobé prevenci rekurentních atak u pacientů s hereditárním angioedémem („HAE“), což je onemocnění, které se může projevovat masivními otoky podkoží a/nebo sliznic.

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

### Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) ANDEMBRY představuje přidanou hodnotu u definované skupiny pacientů s hereditárním angioedémem oproti placebo. Současně prokázal minimálně srovnatelnou účinnost oproti hrazenému léčivému přípravku pro vzácná onemocnění („LPVO“) TAKHZYRO. Přípravek má potenciál snížit počet záchvatů.

Přípravek splňuje v dané indikaci odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), jelikož je určený k léčbě vysoce závažného onemocnění a prokázal, že v primárním hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30 % zlepšení oproti hrazené léčbě (placebu). Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění souladný s veřejným zájmem.

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

### Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku ANDEMBRY 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 HAE, vyjádření odborné společnosti a další shromážděné důkazy.

### Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ANDEMBRY bude v další fázi správního řízení přiznána 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: SUKLS318214/2024

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: CSL Behring GmbH

Zástupce: CSL Behring s.r.o

Léčivá látka a cesta podání: garadacimab, subkutánní podání

ATC: B06AC07

Léčivý přípravek: ANDEMBRY 200MG INJ SOL PEP 1X1, 2ML

Držitel rozhodnutí o registraci:

CSL Behring GmbH, IČ: HRB1056, Emil von Behring Strasse 76, 35041 Marburg, Spolková republika Německo

## Posuzovaná indikace

Rutiní prevence rekurentních atak hereditárního angioedému

## Stanovisko k žádosti

Účinnost a bezpečnost garadacimabu v prevenci rekurentních atak hereditárního angioedému byla prokázána ve studii fáze 3 oproti placebu. Podávání garadacimabu vedlo ke klinicky významnému a signifikantnímu snížení časově normalizovaného počtu záchvatů (počtu atak za měsíc; 0,27 vs. 2,01;  $p < 0,001$ ). Účinnost oproti již hrazenému LPVO TAKZHYRO byla hodnocena v rámci nepřímých srovnání (NMA, MAIC). Na základě těchto dat lze mít účinnost garadacimabu oproti lanadelumabu za minimálně srovnatelnou.

Výsledek analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku ANDEMBRY v indikaci rutinní prevence atak HAE u pacientů ve věku 12 let a starších ve srovnání s placebem ukazuje ICER ve výši 246 190 205 Kč/QALY. Léčivý přípravek tak v předemné indikaci 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 odhaduje 8 až 22 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 30,1 až 17,6 milionů Kč v prvních pěti letech. Zohlednění uzavřeného finančního ujednání na LPVO TAKHZYRO vede k navýšení dopadu na rozpočet. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné důkazy považovat za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu byly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů, nicméně tyto smlouvy nejsou pro přiznání úhrady rozhodné.

## 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 je stanovena následovně.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0286088	ANDEMBRY	200MG INJ SOL PEP 1X1,2ML	<b>433 741,08 Kč</b>	496 466,77

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

6,5708 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 ANDEMBRY 200MG INJ SOL PEP 1X1,2ML zjištěné v Nizozemsku.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0286088	ANDEMBRY	200MG INJ SOL PEP 1X1,2ML	474 176,22	<b>378 482,73</b>	433 339,63

## Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

- S**
- P:** Garadacimab je hrazen pro rutinní prevenci atak hereditárního angioedému (HAE) u pacientů ve věku 12 let a starších, kteří splňují alespoň jeden z níže uvedených bodů:
- měli minimálně 18 atak za posledních 12 měsíců nebo
  - mají v anamnéze 2 závažné ataky HAE za libovolných 12 měsíců vyžadující adekvátní léčbu nebo
  - jsou dosud léčeni dlouhodobou profylaxí kyselinou tranexamovou a prodělali alespoň 18 atak za libovolných 12 měsíců nebo mají v anamnéze alespoň 2 závažné ataky HAE za libovolných 12 měsíců vyžadující adekvátní léčbu.