

SOUHRN K 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS107968/2025, datum: 7. 7. 2026

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 nerozpustných amyloidů v srdci a následně dochází k 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 až III oproti standardní léčbě srdečního selhání. Přípravek má potenciál dosáhnout alespoň 30% zlepšení v primárním kombinovaném sledovaném parametru *četnost výskytu úmrtí ze všech příčin, hospitalizace z kardiovaskulárních příčin, změna hladiny peptidu NT-proBNP a změna 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), jelikož je určený k léčbě vysoce závažného onemocnění a primární klinicky významný cíl v klinické studii prokázal, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě. S ohledem na shromážděné důkazy ve správním řízení považuje Ústav dopad na rozpočet za souladný s veřejným zájmem.

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 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 bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek bude 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 (wtATTR-CM)

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 až III, 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 minimálně 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.

Předložená analýza nákladové efektivity léčivého přípravku BEYONTTRA (akoramidis) ve srovnání s relevantním komparátorem neléčba/podpurná léčba 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 odhaduje 89 až 147 incidenčních pacientů zahajujících léčbu ročně a ukazuje výsledek ve výši 153 až 975 milionů Kč v prvních pěti letech. Tento výsledek však nelze považovat za relevantní s ohledem na existenci finančního ujednání na tafamidis (LP VYNDAQEL). S ohledem na shromážděné důkazy ve správním řízení považuje Ústav dopad na rozpočet za souladný s veřejným zájmem.

Ústavu byla 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 je stanovena následovně.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0286085	BEYONTTRA	356MG TBL FLM 120(6X10X2)	195 996,01	224 866,80 Kč

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

1424,0000 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 BEYONTTRA 356MG TBL FLM 120(6X10X2) zjištěné v Dánsku.

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)
0286085	BEYONTTRA	356MG TBL FLM 120(6X10X2)	244 460,82	183 648,62	210 761,14

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Akoramidis je hrazen k léčbě transthyretinové amyloidózy divokého typu zahájené u dospělých pacientů s kardiomyopatií (ATTR-CM) s funkční třídou NYHA I až II. Léčba předmětným přípravkem je přerušena v případě, že je u pacienta zjištěn některý z dále uvedených klinických stavů:

- Setrvalé zhoršení do funkční třídy NYHA IV
- Setrvalý pokles GFR menší 25 ml/min/1,73m²
- Progredující těžká hepatopatie
- Neovlivnitelná těžká malnutrice
- Závažné nežádoucí účinky spojené s léčbou akoramidisem
- Jiné závažné onemocnění s životní prognózou do 12 měsíců
- Rozvoj těžké demence či jiného devastujícího neurologického onemocnění.