

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS542510/2025, datum: 19. 8. 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 anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Jedná se o závažné onemocnění spojené s potřebou pravidelných transfuzí erytrocytů.

LP REBLOZYL jsou v současné době v posuzovaných indikacích již hrazeny v režimu druhé dočasné úhrady.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

LP REBLOZYL (dále jen „přípravek“) představují přidanou hodnotu v plném rozsahu schválených indikací u dospělých pacientů v léčbě anémie v důsledku MSD nízkého rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Přípravky podávané společně s nejlepší podpůrnou léčbou (best supportive care, BSC) má potenciál u pacientů s MSD snížit potřebu transfuzí erytrocytů a zlepšit tak kvalitu života pacientů.

Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba BSC. Předložené analýzy neprokázaly, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění je dle shromážděných důkazů v souladu s veřejným zájmem.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje první dočasnou úhradu nepřiznat.

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 druhé linii je doložen daty z české klinické praxe.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP REBLOZYL nebude v další fázi správního řízení přiznána trvalá úhrada a LP nebudou z prostředků veřejného zdravotního pojištění hrazeny, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS542510/2025

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	Doplňek 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 s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Stanovisko k žádosti

Předložené klinické podklady prokázaly významný benefit LP REBLOZYL ve snížení transfuzní zátěže oproti placebo. V registračních studiích bylo prokázáno statisticky významné snížení transfuzní zátěže. Dlouhodobá data dokládají vysokou míru účinnosti a akceptovatelný bezpečnostní profil. Data z klinické praxe v ČR podporují přínos LP REBLOZYL prokázaný v klinických studiích.

Analýza nákladové efektivity LP REBLOZYL ve srovnání s BSC ukazuje výsledek (ICER) ve výši 2,3 milionů Kč/QALY. LP REBLOZYL tak nelze v předmětné indikaci a u zvolené cílové populace považovat za nákladově efektivní intervenci, a to ani v případě zohlednění navrženého finančního ujednání.

Analýza dopadu na rozpočet v posuzované indikaci odhaduje 35 až 63 léčených pacientů ročně a ukazuje výsledek ve výši 40 až 59 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 nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami 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

Není stanovena.

Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny.