

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS509617/2025, datum: 16. 9. 2026

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek (LP) EVRYSDI (obsahující léčivou látku risdiplam) v lékové formě perorálních potahovaných tablet je určený k léčbě spinální svalové atrofie (SMA) u pacientů od 2 let věku a minimálně 20 kg. Jde o vzácné, geneticky podmíněné neurodegenerativní onemocnění vedoucí k nevratnému poškození motorického svalstva, pacienti nejsou například schopni pohybu a sebeobsluhy, samostatného dýchání, časně umírají.

LP EVRYSDI je hodnocen v režimu **první dočasné úhrady**.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

LP EVRYSDI představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace pacientů se SMA oproti dostupné nejlepší podpůrné terapii (BSC). Současně přípravek prokázal obdobnou účinnost oproti hrazenému léčivému přípravku pro vzácná onemocnění (LPVO) EVRYSDI, prášek pro perorální roztok, a oproti hrazenému LPVO SPINRAZA. Přípravek má potenciál prodloužit přežití, zlepšit kvalitu života, redukovat klinicky významné symptomy onemocnění.

LP EVRYSDI splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), jelikož je určený k léčbě vysoce závažného onemocnění. V případě léčby SMA 1. typu přípravek prokázal prodloužení střední doby celkového přežití alespoň o 30 % oproti hrazené léčbě (placebu). V případě léčby SMA 2. a 3. typu přípravek prokázal, že v primárním hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30 % zlepšení oproti hrazené léčbě (placebu). Zařazení LP EVRYSDI do systému úhrad představuje finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění v kontextu daného onemocnění, který je v souladu s veřejným zájmem na zachování stability financování systému zdravotnictví.

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 LP EVRYSDI 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 SMA a společná stanoviska VZP ČR s odbornou společností.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP EVRYSDI 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: SUKLS509617/2025

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Roche Registration GmbH

Zástupce: ROCHE s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: risdiplam, perorální

ATC: M09AX10

Léčivý přípravek: EVRYSDI, 5MG TBL FLM 28X1, kód SÚKL 0286269

Držitel rozhodnutí o registraci: Roche Registration GmbH

Posuzovaná indikace

Léčba spinální svalové atrofie vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu.

Stanovisko k žádosti

Ústav považuje klinický přínos LP EVRYSDI oproti BSC u populace, pro kterou je žádáno o stanovení první dočasné úhrady, za prokázaný. Účinnost přípravku oproti již hrazenému LPVO SPINRAZA byla hodnocena v rámci nepřímých srovnání (NMA, MAIC). Oproti LPVO EVRYSDI byla pro přípravek prokázána bioekvivalence. Na základě těchto dat lze mít účinnost risdiplamu v lékové formě perorálních tablet oproti risdiplamu v lékové formě prášku pro perorální roztok a oproti nusinersenu k intratekálnímu podání za minimálně srovnatelnou.

Výsledek analýzy nákladové efektivity LP EVRYSDI ve srovnání s BSC (nejlepší podpůrnou terapií) ukazuje pro SMA 1. typu ICER (poměr nákladů a přínosů) ve výši 28,6 milionů Kč/QALY, pro SMA 2. a 3. typu je ICER ve výši 31,7 mil. Kč/QALY. Léčivý přípravek 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 LP EVRYSDI odhaduje 146 až 222 pacientů léčených v prvních pěti letech a ukazuje úsporu ve výši 4,8 až 3,8 milionů Kč v prvních pěti letech. S ohledem na shromážděné důkazy ve správním řízení považuje Ústav dopad na rozpočet za souladný s veřejným zájmem. Tento výsledek však nelze považovat za relevantní, s ohledem na existenci finančního ujednání na LPVO SPINRAZA a LPVO EVRYSDI, perorální roztok. Zohlednění uzavřeného finančního ujednání na LPVO SPINRAZA a LPVO EVRYSDI vede k navýšení dopadu na rozpočet.

Ústavu nebyla předložena informace, že účastníci řízení uzavřeli ujednání o limitaci nákladů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP nebo PZLÚ

LP EVRYSDI byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

K LP EVRYSDI 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)
0286269	EVRYSDI	5MG TBL FLM 28X1	387 763,09	443 941,51

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

5 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 v EU zjištěné v Nizozemsku:

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)
0286269	EVRYSDI	5MG TBL FLM 28X1	365 557,01	367 709,75	418 573,29

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Risdiplam je hrazen v indikaci spinální svalové atrofie vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu (SMA).

Léčba je zahájena u všech symptomatických i asymptomatických dětí od 2 let věku a s tělesnou hmotností od 20 kg se SMA typu I, II, III, v případě že je geneticky potvrzená diagnóza 5qSMA (homozygotní delece či heterozygotní delece a mutace v genu SMN1), a průkaz 2 až 4 kopií SMN2 genu, a u kterých nebyla aplikována genová terapie.

Klinické hodnocení léčby je provedeno před nasazením léčby, následně po 6 měsících léčby škálou CHOP-INTEND, HFMSE, RULM, 6MWT (výběr škály dle tíže obtíží a věku pacienta), vyšetření plicních funkcí (spirometrie, screening noční saturace apod.), a pak následně v pravidelných intervalech, nejpozději však po 12 měsících léčby.

Léčba dětského pacienta je ukončena v případě atypicky rychlé progresse nemoci či v případě nespolupracující rodiny.

Léčba dětského pacienta není zahájena v případě nespolupracující rodiny, v případě jiného závažného interního onemocnění nesouvisejícího se základní diagnózou.

Léčba dospělého pacienta je zahájena pouze u symptomatického pacienta s 5q SMA s minimálně 2 kopiemi SMN2 genu. Klinické hodnocení léčby je provedeno před nasazením léčby, škálou HFMSE, RULM, 6MWT (výběr škály dle tíže obtíží pacienta), vyšetření plicních funkcí (spirometrie, screening noční saturace apod.), a pak následně v pravidelných intervalech, nejpozději však po 12 měsících léčby.

Léčba dospělého pacienta je ukončena v případě úplné ztráty hybnosti, nutnosti 24 hod. UPV, nespolupráce pacienta, v případě progresse onemocnění vykládané jako rezistence na léčbu.

Léčba dospělého pacienta není zahájena v případě úplné ztráty hybnosti s potřebou 24hodinové UPV, u nespolupracujícího pacienta, u něhož není předpoklad adherence k léčbě, v případě jiného závažného onemocnění, které zásadním způsobem interferuje se základní diagnózou, a/nebo zásadním způsobem limituje délku života pacienta.