

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS158793/2022, datum: 18. 11. 2022

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek REVESTIVE obsahující léčivou látku teduglutid je určen k léčbě pacientů ve věku od 1 roku se syndromem krátkého střeva (Short Bowel Syndrome, SBS). SBS je závažné onemocnění obvykle postihující pacienty, kteří mají odstraněnu větší část tenkého střeva a jsou tak závislí na parenterální výživě (PV). Nově žadatel požaduje rozšíření hrazených indikací v rámci druhé dočasné úhrady o populaci dětských pacientů ve věku 4 – 12 měsíců.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) REVESTIVE, obsahující léčivou látku teduglutid (TED), představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u pacientů ve věku od 1 roku se SBS, kteří jsou po uplynutí adaptace stabilizováni na PV. Přípravek má potenciál u pacientů se SBS snížit nebo zcela ukončit závislost na PV a tím pádem redukovat výskyt komplikací spojených s dlouhodobou PV. TED na základě výsledků klinických studií podporuje obnovu a normální růst střeva a zvyšuje resorpční plochu střeva, což umožňuje snížení objemu parenterální výživy (PV).

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), jelikož primární klinicky významný cíl v klinické studii prokázal, že v hodnoceném parametru (snížení potřeby PV), který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti stávající symptomatické léčbě.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje úhradu přiznat.

Pro populaci pacientů se SBS ve věku 4-12 měsíců Ústav vyhodnotil klinické podklady jako nedostatečné. Úhradu na tuto populaci pacientů nelze rozšířit rovněž z toho důvodu, že tato skupina pacientů nebyla předmětem smlouvy o zajištění závazků v souvislosti s dočasnou úhradou vysoce inovativního léčivého přípravku REVESTIVE uzavřené mezi žadatelem a plátcí pro účely stanovení první dočasné úhrady.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty zařazení přípravků REVESTIVE do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální zahraniční (zejména evropské) doporučení pro použití TED u pacientů se SBS.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku REVESTIVE bude v další fázi správního řízení přiznána druhá dočasná úhrada na 2 roky a léčivý přípravek bude z prostředků veřejného zdravotního pojištění pro pacienty od 1 roku věku 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: SUKLS158793/2022

Léčivý přípravek/ potravina pro zvláštní lékařské účely a žadatel

Žadatel: Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch

Zástupce: Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: teduglutid, parenterální podání

ATC: A16AX08

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku/PZLÚ	Doplněk názvu
0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP
0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch

Posuzovaná indikace

Léčba SBS u pacientů od 1 roku věku, kteří jsou ve stabilním stavu po období pooperační adaptace střeva.

Stanovisko k žádosti

Léčivý přípravek REVESTIVE představuje jedinou možnost farmakologické léčby SBS. Předložené klinické studie prokázaly účinnost a bezpečnost přípravku u dospělých i dětských pacientů od 1 roku věku. Podání přípravku REVESTIVE vedlo k redukci objemu přijímané PV i snížení počtu dní závislosti na PV.

Žadatel požaduje stanovení druhé dočasné úhrady stran kritéria „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“. Analýza primárního parametru studie STEPS u dospělých pacientů (snížení týdenního objemu PV o 20-100%) prokázala, že v rameni TED se vyskytovalo více respondérů (27/43 = 62,8 %) než v rameni placebo (13/43 = 30,2 %) (p=0,002). Z uvedeného je patrné, že přípravek REVESTIVE má výrazný dopad na snížení týdenního objemu PV oproti hrazené léčbě, a to o necelých 33 % (62,8 % - 30,2 % = 32,6 %). Rovněž v případě pediatrické populace ve věku 1 - 17 let bylo ve studii Kocoshis SA et al. prokázáno, že TED oproti placebo významně snižuje závislost na PV, a to o více než 30%. Snížení objemu PV, resp. nezávislost na PV snižuje riziko negativních dopadů PV, čímž se zvyšuje kvalita života pacientů.

Podmínky dané ustanovením § 39d odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění („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“) považuje Ústav pro uznání statusu VILP za splněné pro populaci pacientů s SBS ve věku od 1 roku (pro pacienty od 4 měsíců do 1 roku věku nebyly mj. s ohledem na absenci validní klinické evidence, naplněny zákonné podmínky pro přiznání statusu VILP).

Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet není dle ustanovení § 39d odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění, v případě stanovení druhé dočasné úhrady vysoce inovativního léčivého přípravku vyžadováno.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP nebo PZLÚ

Léčivý přípravek byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

K léčivému přípravku nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní.

Maximální cena

Maximální cena je změněna následovně:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	181 439,74	204 519,19
0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	379 196,97	426 402,80

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

3,7500 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena dočasná na 2 roky následovně.

Úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné v Dánsku.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR (Kč)
0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	94 477,14	94 477,14	106 239,30
0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	377 908,55	377 908,55	424 957,19

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Teduglutid je hrazen k nepaliativní léčbě SBS-CIF (syndromu krátkého střeva-chronického střevního selhání):

1. Dospělým pacientům splňujícím ESPEN kritéria dle Pironiho 2018 PN1 – PN4, kdy adaptace střeva probíhá alespoň 6 měsíců, parenterální výživa je optimalizovaná a stabilizována a užívána alespoň 12 měsíců, minimálně 3 dny v týdnu a není již jiná možnost dosáhnout zlepšení funkce střeva.

Léčba teduglutidem je vždy hrazena u dospělých pacientů s možným rizikem nežádoucích účinků parenterální výživy:

- progresivní hepatopatie F 3 a méně a/ nebo
- zbývají nejvíce 3 centrální žilní vstupy a/ nebo
- metabolická kostní choroba.

U pacientů s Crohnovou nemocí musí být pacient při nasazení léčby v klinické remisi nejméně 12 týdnů.

2. Pediatrickým pacientům od 1 roku, kdy adaptace střeva probíhá alespoň 6 měsíců a parenterální výživa je optimalizována a stabilizována.

Léčba teduglutidem není hrazena u pacientů s aktivním maligním onemocněním nebo podezřením na malignitu a u pacientů s anamnézou výskytu maligního onemocnění GIT včetně hepatobiliárního systému a pankreatu v posledních pěti letech.

Léčba se ukončí kdykoliv z důvodu neakceptovatelné toxicity nebo pokud není dosaženo po 52 týdnech alespoň 20% redukce v objemu parenterální výživy. U pediatrických pacientů je pro užití uvedené podmínky redukce nezbytné zohlednění aktuální hmotnosti pacienta.