

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS110348/2023, datum: 27. 7. 2023

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivý přípravek ASPAVELI (obsahující léčivou látku pegcetakoplan, PGC) je určený k léčbě k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie (PNH) u dospělých pacientů, kteří mají anemii i po minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 složky komplementu.

PNH je vzácné chronické onemocnění, které může vést k život ohrožujícím komplikacím a rozvoji systémových komplikací, které zahrnují chronickou hemolýzu (v důsledku toto rozvoj anemie), poškození funkce kostní dřeně, riziko trombózy a následné jaterní selhání.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (LP) ASPAVELI představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s PNH, kteří zůstávají anemičtí po předchozí minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 složky komplementu.

Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba ekulizumabem. Předložené analýzy neprokázaly, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústav s ohledem na neprokázání nákladové efektivity vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení LP ASPAVELI 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 PNH a vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP ASPAVELI bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, pokud ve správním řízení dojde k dohodě účastníků na snížení nákladů na přípravek. Je nezbytné, aby ve správním řízení byly předloženy smlouvy o limitaci nákladů uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami. Pokud k tomuto nedojde, léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS110348/2023

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Zástupce: Swedish Orphan Biovitrum s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: pegcetakoplan, infuzní podání

ATC: L04AA54

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu
0255395	ASPAVELI	1080MG INF SOL 1X20ML
0255396	ASPAVELI	1080MG INF SOL 8(8X1)X20ML

Držitel rozhodnutí o registraci: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Posuzovaná indikace

Léčba paroxysmální noční hemoglobinurie (PNH) u dospělých pacientů, kteří mají anemii i po minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5 složky komplementu.

Pacienti s PNH a vysokou aktivitou onemocnění jsou v první linii indikováni k léčbě inhibitory C5 složky komplementu (léčivý přípravek SOLIRIS obsahující léčivou látku ekulizumab, ECU). Inhibitory složky komplementu C5 jsou obecně dobře tolerovány a účinně kontrolují hemolýzu spojenou s PNH (zlepšují symptomy spojené s anémií – únava, dušnost, snížení transfuzní závislosti), zabraňují trombóze a snižují bolest. Nicméně, k normalizaci hodnot Hb (≥ 120 g/l) dochází i přes dosažení transfuzní nezávislosti jen u 25 % nemocných a u zbytku nemocných většinou přetrvává únava a snížená výkonnost spojená s nižší hodnotou Hb.

Stanovisko k žádosti

LP ASPAVELI disponuje dostatečnými odbornými důkazy o terapeutické účinnosti a bezpečnosti. Předložená klinická evidence prokázala vyšší účinnost a srovnatelnou bezpečnost u cílové skupiny pacientů s PNH a anémií i po předcházející minimálně 3měsíční léčbě inhibitory C5. Použití posuzovaného přípravku je ukotveno v českých klinických doporučeních pro léčbu PNH.

Analýza nákladové efektivity léčivého přípravku ASPAVELI v posuzované indikaci ve srovnání s ekulizumabem ukazuje ICER ve výši 7 410 626 Kč/QALY. Léčivý přípravek nelze považovat za nákladově efektivní intervenci. Při zohlednění žadatelem navrženého finančního ujednání by bylo možné považovat hodnocený přípravek za nákladově efektivní.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého odhaduje 27 až 35 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 7,9–0,9 mil. Kč (1,9 mil. Kč kumulativně) za prvních 5 let. Výsledný dopad na rozpočet lze považovat za akceptovatelný.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující 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

Stanovení maximální ceny není předmětem tohoto správního řízení.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

308,5714 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů / finanční limitaci dopadu na rozpočet, může být stanovena následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny LP ASPAVELI 1080MG INF SOL 8(8X1) X20ML v EU zjištěné v Itálii.

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)
0255395	ASPAVELI	1080MG INF SOL 1X20ML	68 277,17	66 667,84	74 919,29
0255396	ASPAVELI	1080MG INF SOL 8(8X1)X20ML	546 217,34	533 342,70	599 354,31

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.

Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů / finanční limitaci dopadu na rozpočet, mohou být podmínky úhrady stanoveny následovně:

S

P: Léčivý přípravek je hrazen u dospělých pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří mají anemii (s hladinou hemoglobinu méně než 10,5 g/dl nebo s vyššími hodnotami při manifestních příznacích anémie) i po minimálně 3měsíční léčbě inhibítorem C5 složky komplementu.