

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS251412/2023, datum: 9. 2. 2024

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ELFABRIO (obsahující léčivou látku pegunigalsidáza alfa) je určen k enzymatické substituční léčbě Fabryho choroby u dospělých pacientů.

Fabryho choroba (FD) je vzácné dědičné progresivní onemocnění způsobené mutací genu pro enzym (alfa galaktosidázu A) spojené s akumulací glykosfingolipidů v lyzozomech buněk mnoha orgánových systémů a jejich poškození. Prognosticky nejzávažnější je zejména postižení srdce, ledvin a CNS. Kvalita života je však výrazně ovlivněna rovněž výskytem periferních neurologických komplikací, projevů kožních a postižením smyslových orgánů.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) ELFABRIO s obsahem pegunigalsidázy alfa je určený k léčbě FD u dospělých pacientů. Jedná se o rekombinantní formu lidské galaktosidázy A pro enzymovou substituční léčbu tohoto onemocnění.

Na základě odborného hodnocení dospěl Ústav k závěru, že klinická data o účinnosti a bezpečnosti pegunigalsidázy alfa u dospělých pacientů s FD prokazují obdobnou účinnost a bezpečnost jakou má současná terapie agalsidázou alfa nebo agalsidázou beta.

S ohledem na způsob stanovení úhrady nebylo hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet požadováno.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje přípravku ELFABRIO úhradu v posuzované indikaci přiznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty i ekonomické aspekty zařazení přípravku ELFABRIO v posuzované indikaci do úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální zahraniční doporučené postupy k terapii FD.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ELFABRIO bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS251412/2023

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Chiesi Farmaceutici S.p.A.

Zástupce: Chiesi CZ s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: pegunigalsidáza alfa

ATC: A16AB20

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu
0271706	ELFABRIO	2MG/ML INF CNC SOL 1X10ML

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Chiesi Farmaceutici S.p.A

## Posuzovaná indikace

Dlouhodobá enzymatická substituční léčba pacientů s Fabryho chorobou, nedostatek alfa-galaktosidázy A.

## Stanovisko k žádosti

Klinické důkazy pro průkaz účinnosti a bezpečnosti přípravku ELFABRIO u dospělých pacientů považuje Ústav za dostatečné. V požadované indikaci jsou již hrazeny z prostředků veřejného zdravotního pojištění přípravky REPLAGAL a FABRAZYME, které jsou s posuzovaným přípravkem ELFABRIO v zásadě terapeuticky zaměnitelné.

Jelikož Ústav nestanovuje přípravku ELFABRIO vyšší úhradu ani méně omezující podmínky úhrady oproti terapeuticky zaměnitelným přípravkům REPLAGAL a FABRAZYME, není hodnocení nákladové efektivity ani dopadu na rozpočet vyžadováno.

## Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP

Léčivý přípravek ELFABRIO byl společně s již hrazenými přípravky REPLAGAL (agalsidáza alfa) a FABRAZYME (agalzidáza beta) zařazený do referenční skupiny č. 11/1 - enzymy k dlouhodobé substituční terapii dědičných poruch lipidového metabolismu.

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

## Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: MC (Kč)	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0271706	ELFABRIO	2MG/ML INF CNC SOL 1X10ML	80 000,00	<b>61 543,18</b>	71 267,89

### Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

5,3571 mg/den

### Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0271706	ELFABRIO	2MG/ML INF CNC SOL 1X10ML	<b>31 451,59</b>	31 812,14	36 479,42

Základní úhrada se odvíjí od základní úhrady fixované v rámci hloubkové revize systému úhrad referenční skupiny č. 11/1 - enzymy k dlouhodobé substituční terapii dědičných poruch lipidového metabolismu. Úhrada za balení je následně ponížena na návrh žadatele.

### Podmínky úhrady

Podmínky úhrady jsou stanoveny následovně:

**S**

**P:** Pegunigalsidáza alfa je hrazena k léčbě potvrzené diagnózy Fabryho nemoci u dospělých pacientů.