

SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS82535/2020, 1.9.2020

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek KANUMA (obsahující léčivou látku sebelipasum alfa) je určený k enzymatické substituční léčbě (ERT) u pacientů všech věkových skupin s deficitem lysozomální kyselé lipázy (LAL).

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek KANUMA představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace pacientů všech věkových skupin s LAL oproti dostupné terapii, kterou je v současnosti podpůrná léčba. Přípravek má potenciál normalizovat stav pacienta, snížit rozvoj klinicky významných symptomů onemocnění a u populace pacientů s časným projevem onemocnění (Wolmanova choroba) prodloužit celkovou délku života.

Přípravek KANUMA je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba, kterou je podpůrná léčba. Žadatelem předložená analýza nákladové efektivity nespĺňuje minimální požadavky na kvalitu a nákladovou efektivity tak nelze vyhodnotit, a tedy léčivý přípravek KANUMA nelze považovat za nákladově efektivní intervenci. Zařazení přípravku KANUMA do systému úhrad představuje potenciálně vysoký finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění v kontextu daného onemocnění, což není v souladu s veřejným zájmem na zachování stability systému veřejného zdravotního pojištění.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku KANUMA 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 LAL.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku KANUMA nebude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění 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: SUKLS82535/2020

Léčivý přípravek/ potravina pro zvláštní lékařské účely a žadatel

Žadatel: Alexion Europe SAS

Zástupce: Swixx Biopharma s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: sebelipasum alfa; intravenózní podání

ATC: A16AB14

Léčivý přípravek: KANUMA 2MG/ML INF CNC SOL 1X10ML

Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS; 103-105 rue Anatole France, 92300 Levallois-Perret, Francie

Posuzovaná indikace

Léčba pacientů všech věkových skupin s deficitem lyzozomální kyselé lipázy.

Stanovisko k žádosti

Ústav neshledal zásadní limitace předložených klinických podkladů a klinický přínos (ve smyslu normalizace stavu pacienta a/nebo rozvoje klinicky významných symptomů onemocnění a u populace pacientů s časným projevem onemocnění (Wolmanova choroba) ve smyslu prodloužení celkové délky života) považuje za prokázaný.

Žadatelem předložená analýza nákladové efektivity nesplňuje minimální požadavky na kvalitu a nákladovou efektivitu tak nelze vyhodnotit, léčivý přípravek KANUMA tedy nelze považovat za nákladově efektivní intervenci. Samostatná analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku KANUMA pro pacienty s vrozenou deficiencí lyzozomální kyselé lipázy (LAL-D) s časným nástupem a rychlou progresí onemocnění (Wolman disease) nebyla předložena. Ústav tedy nemohl výši dopadu na rozpočet vyhodnotit. Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku KANUMA ve srovnání s podpurnou péčí u pacientů s deficitem lyzozomální kyselé lipázy (LAL-D) s pozdním rozvojem klinických příznaků odhaduje 10 až 14 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 163 až 221 milionů Kč v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet je s ohledem na dosavadní rozhodovací praxi Ústavu vysoký.

Ústavu nebyla předložena informace, že účastníci řízení uzavřeli ujednání o 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 posouzení v tomto správním řízení, sp. zn. SUKLS82535/2020.

Maximální cena byla stanovena ve správním řízení vedeném na základě žádosti VZP o stanovení maximální ceny léčivého přípravku, sp. zn.: SUKLS22338/2020 ve výši 151 607,12 Kč.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

5,0000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána