SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS179708/2020, datum: 15. 9. 2020

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek ELOCTA (obsahující léčivou látku efmoroktokog alfa) je určený k léčbě pacientů s hemofilií A (vrozený nedostatek faktoru VIII). Léčivá látka v přípravku ELOCTA, efmoroktokog alfa, působí v těle stejným způsobem jako lidský koagulační faktor VIII. Nahrazuje chybějící faktor VIII (FVIII), napomáhá tak srážení krve a zajišťuje dočasnou kontrolu krvácení. Jedná se o přípravek s prodlouženou dobou účinku. Zatím je hrazen pouze pro skupinu pacientů s hemofilií A předléčených standardními plazmatickými nebo rekombinantními FVIII. Nově je požadováno odstranění podmínky předléčenosti, tzn. že ELOCTA může být podávána již po objevení první klinicky významné krvácivé epizody.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) ELOCTA představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace pacientů s hemofilií A oproti dostupné terapii, kterou jsou standardní plazmatické či rekombinantní faktory VIII. K benefitům přípravku ELOCTA, ve srovnání s používanými standardními plazmatickými nebo rekombinantními faktory VIII, patří méně časté dávkování. Standardní FVIII se obvykle dávkují každý druhý nebo třetí den, tj. 3 – 4 týdně. FVIII s prodlouženým účinkem má dávkování obvykle 2x týdně nebo i 1x za 5 dní.

Přípravek ELOCTA je stejně nákladný jako dostupná hrazená léčba standardními plazmatickými či rekombinantními FVIII, které však limitaci předléčeností nemají.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení, navrhuje odstranění podmínky předléčenosti v podmínkách úhrady.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku ELOCTA v indikaci těžké hemofilie A ve všech věkových kategoriích 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 doporučené postupy k terapii hemofilie A.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ELOCTA bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada pro pacienty s hemofilií A ve všech věkových kategoriích.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS179708/2020

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Swedish Orphan Biovitrum AB
Zástupce: Swedish Orphan Biovitrum s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: efmoroktokog alfa
ATC: B02BD02
Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu
0186995	ELOCTA	1000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
0186996	ELOCTA	1500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
0186997	ELOCTA	2000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
0186992	ELOCTA	250IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
0186998	ELOCTA	3000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
0186993	ELOCTA	500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
0186994	ELOCTA	750IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP

Držitel rozhodnutí o registraci: Swedish Orphan Biovitrum AB

Posuzovaná indikace: Hemofilie A je dědičné onemocnění vázané na chromosom X, vedoucí k úplnému chybění nebo nedostatku koagulačního faktoru VIII. Pacienti jsou ohroženi častým krvácením.

Stanovisko k žádosti

Předložené klinické podklady prokázaly účinnost a bezpečnost přípravku ELOCTA u zatím neléčených pediatrických pacientů s hemofilií A. Stejně jako u předléčených dětských pacientů bylo dosaženo dobré kontroly krvácení a vývoj inhibitoru, které by mohly snížit účinnost léčby, byl srovnatelný jako u standardních FVIII. S ohledem na to, že hemofilie A je většinou diagnostikována v dětském věku, nově diagnostikovaný dospělý pacient s hemofilií A bude velice raritní. Ústav je toho názoru, že data o účinnosti a bezpečnosti ELOCTY získaná od zatím neléčených dětských pacientů i předléčených dospělých pacientů, je možné přenést i na zatím neléčené dospělé pacienty s hemofilií A.

Z důvodu stejných nákladů na léčbu ve srovnání se standardními FVIII nebylo požadováno předložení hodnocení nákladové efektivity.

Dopad na rozpočet bude vzhledem ke stejným nákladům ve srovnání se standardními faktory VIII neutrální nebo mírně šetřící, protože návrh úhrady žadatele je nižší než zjištění Ústavu.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP nebo PZLÚ

Léčivý přípravek byl posouzen jako terapeuticky zaměnitelný se standardními plasmatickými a rekombinantními FVIII.

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

Maximální cena

V tomto správním řízení nebyla posuzována.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

700 IU/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena následovně.

Základní úhrada byla stanovena dle návrhu žadatele, protože je nižší než zjištění Ústavu.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku/PZLÚ	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)	*Stávající maximální úhrada / balení (Kč)*
0186995	ELOCTA	1000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP	**10 427,03**	12 225,99	12 962,52	12 328,32
0186996	ELOCTA	1500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP	**15 640,54**	18 338,98	19 443,78	18 492,49
0186997	ELOCTA	2000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP	**20 854,05**	24 451,97	25 925,03	24 656,65
0186992	ELOCTA	250IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP	**2 606,76**	3 056,50	3 240,63	3 082,08
0186998	ELOCTA	3000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP	**31 281,08**	36 677,96	38 887,56	36 984,97
0186993	ELOCTA	500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP	**5 213,51**	6 112,99	6 481,26	6 164,17
0186994	ELOCTA	750IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP	**7 820,27**	9 169,49	9 721,89	9 246,25

Podmínky úhrady

Podmínky úhrady budou stanoveny následovně:

AE/HEM

P: Přípravek je hrazen:

1) v profylaxi a léčbě krvácivých stavů u nemocných s vrozeným či získaným nedostatkem faktoru VIII
2) u nemocných s výskytem inhibitoru proti faktoru VIII v nízkém titru (do 5 Bethesda jednotek).