SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS312506/2019, datum: 30.11.2020

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek WAKIX (obsahující léčivou látku pitolisant) je určený k léčbě pacientů s nadměrnou denní spavostí spojenou s narkolepsií, u kterých není vhodné užít léčbu modafinilem a v případě kataplexie (náhlého poklesu svalového napětí) ani oxybátem sodným.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek WAKIX má potenciál redukovat klinicky významné symptomy onemocnění narkolepsie (snížení nadměrné denní spavosti, snížení týdenního výskytu kataplexií, halucinace a spánkové obrny). V současné době však přetrvává nejistota v průkazu klinického přínosu přípravku pro žadatelem navrženou skupinu pacientů s narkolepsií bez kataplexie, kteří selhali na léčbě modafinilem a pacientů s narkolepsií s kataplexií, kteří selhali na léčbě modafinilem či oxybátem sodným.

Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba. Zda jsou vyšší náklady v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty, nebylo prokázáno (a to jak pro skupinu pacientů, kteří selhali na léčbě modafinilem, tak pro skupinu pacientů, kteří nemohou užívat modafinil), protože v předložených podkladech byly zjištěny závažné nedostatky. Pro část populace navržené pro úhradu (pro pacienty s narkolepsií s kataplexií, kteří selhali léčbě oxybátem sodným ani pro skupinu pacientů, kteří ho nemohou užívat) nebyla analýza nákladové efektivity předložena, nelze nákladovou efektivitu hodnocené intervence vyhodnotit. 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 proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku WAKIX 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 narkolepsie.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku WAKIX 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: SUKLS312506/2020

Léčivý přípravek

Žadatel: **Bioprojet Pharma**
Zástupce: **MUDr. Veronika Chicevičová**

Léčivá látka a cesta podání: pitolisant k perorální aplikaci
ATC: N07XX11
Léčivý přípravek: WAKIX 4,5MG TBL FLM 30; WAKIX 18MG TBL FLM 30
Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: **Bioprojet Pharma**, IČ: 385194980, 9 rue Rameau, 75002, Paris, Francouzská republika

Posuzovaná indikace

Narkolepsie je vzácné neurologické onemocnění, které se projevuje nadměrnou denní spavostí včetně krátkých, neodolatelných a náhle přicházejících period spánku, jimž může předcházet stav ospalosti. Dělí se na dva podtypy: narkolepsie 1. typu je způsobená vymizením malé skupiny nervových buněk v části mozku, které se účastní udržování bdělosti, vyskytují se u ní kataplexie (tj. krátké epizody poklesu svalového napětí vyvolané náhlou emocí). Dalšími příznaky jsou nepříjemné hypnagogické halucinace často spojené se spánkovou obrnou, a nekvalitní noční spánek. Narkolepsie 2. typu se projevuje spavostí, ale nejsou přítomny kataplexie a její příčina není známá. Narkolepsie je nevyléčitelné onemocnění, často závažné, invalidizující, někdy i život ohrožující.

Stanovisko k žádosti

Přípravek prokázal účinnost ve studiích fáze III v terapii nadměrné denní spavosti a kataplexie, na jejichž základě byl registrován. Nicméně pro skupinu pacientů dle žadatelem navrhovaných podmínek úhrady (pro pacienty s narkolepsií bez kataplexie, kteří selhali na léčbě modafinilem, a u pacientů s narkolepsií s kataplexií, kteří selhali na léčbě modafinilem či oxybátem sodným), není k dispozici dostatečná klinická evidence o jeho účinnosti.

Ústav identifikoval nedostatky rovněž v předložené analýze nákladové efektivity (jak pro skupinu pacientů, kteří selhali na léčbě modafinilem, tak pro skupinu pacientů, kteří nemohou užívat modafinil) a zároveň pro část populace navržené pro úhradu (pro pacienty s narkolepsií s kataplexií, kteří selhali léčbě oxybátem sodným, tak pro skupinu pacientů, kteří nemohou užívat oxybát sodný) nebyla analýza nákladové efektivity předložena, nelze nákladovou efektivitu hodnocené intervence vyhodnotit. Ve spojení s nedostatečnou klinickou evidencí nelze přípravek považovat při navržené výši a podmínkách úhrady za nákladově efektivní intervenci.

Ústavu nebyla předložena informace, že účastníci řízení uzavřeli ujednání o limitaci nákladů.

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 terapie.

Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně (přípravek pro vzácná onemocnění).

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku/PZLÚ	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0209288	WAKIX	4,5MG TBL FLM 30	**8 057,51**	9 941,59
0209289	WAKIX	18MG TBL FLM 30	**8 057,51**	9 941,59

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

36,0000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.