SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS329859/2019, datum: 12. 4. 2021

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek **ULTOMIRIS** (obsahující léčivou látku ravulizumab) je určený k léčbě pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií (PNH). PNH je závažnou, velmi vzácně se vyskytující nemocí krve. Při tomto onemocnění se červené krvinky pacientů rozpadají (probíhá tzv. chronická hemolýza), což se projevuje různými příznaky, mezi které patří bolesti břicha, obtížné polykání, anemie, dušnost, únava, v závažnějších případech tvorba krevních sraženin či selhání důležitých orgánů.

Dále je určený k léčbě pacientů s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS). aHUS je závažnou, velmi vzácně se vyskytující nemocí, při které dochází k postižení vystélky drobných cév v různých orgánech, což vede k tvorbě sraženin a poruše funkce postižených orgánů (nejčastěji nervová soustava, ledviny, srdce, plíce, střeva).

Používá se u pacientů s klinickými příznaky onemocnění s cílem těmto příznakům zamezit nebo je zmírnit.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) ULTOMIRIS představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace pacientů s PNH a aHUS oproti dostupné terapii, kterou je podávání podpůrné léčby. Přípravek má potenciál snížit riziko úmrtí pacienta, snížit výskyt klinicky významných symptomů onemocnění a/nebo jejich tíži a zlepšit kvalitu života pacientů.

Přípravek je jak v případě PNH, tak aHUS významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba, kterou je podpůrná terapie. Zda jsou vyšší náklady v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienta nebylo prokázáno, protože v předložené analýze byly zjištěny závažné nedostatky (indikace PNH), resp. nebyla předložena analýza nákladové efektivity (indikace aHUS). Proto Ústav přípravek nemohl posoudit, zda se jedná o 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 ULTOMIRIS 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 aHUS.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku ULTOMIRIS 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: SUKLS329859/2019

Léčivý přípravek/ potravina pro zvláštní lékařské účely a žadatel

Žadatel: Alexion Europe SAS
Zástupce: Swixx Biopharma s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: ravulizumab; intravenózní podání
ATC: L04AA43
Léčivý přípravek: ULTOMIRIS 300MG INF CNC SOL 1X30ML
Držitel rozhodnutí o registraci:
Alexion Europe SAS, 103-105 rue Anatole France, 92300 Levallois-Perret, Francie

Posuzovaná indikace

Léčba dospělých pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií (PNH): u pacientů s hemolýzou a klinickým příznakem svědčícím o vysoké aktivitě onemocnění a dále u pacientů, kteří jsou klinicky stabilní nejméně po dobu posledních 6 měsíců léčby ekulizumabem.

Léčba pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS), kteří doposud nebyli léčeni inhibitory komplementu nebo jim byl podáván ekulizumab nejméně po dobu 3 měsíců a byla u nich prokázaná odpověď na ekulizumab.

Stanovisko k žádosti

Ústav neshledal zásadní limitace předložených klinických podkladů a klinický přínos ve smyslu snížení rizika úmrtí spolu se zvýšením kvality života u hodnocené populace považuje za prokázaný.

Ústavu pro ani jednu z obou posuzovaných indikací nebyly předloženy metodicky vyhovující analýzy nákladové efektivity přípravku ULTOMIRIS ve srovnání s podpůrnou terapií. Proto **nelze vyhodnotit, zda je přípravek ULTOMIRIS nákladově efektivním postupem**. Analýza dopadu na rozpočet v indikaci PNH odhaduje 22–35 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 26,1–130,8 milionů Kč v prvních pěti letech ve srovnání s komparátorem SOLIRIS. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné důkazy považovat za akceptovatelný. V alternativním scénáři ve srovnání s podpůrnou péčí ukazuje analýza dopadu na rozpočet výsledek ve výši 242,8–339,4 milionů Kč v prvních pěti letech.

Analýza dopadu na rozpočet v indikaci aHUS odhaduje 27 až 37 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 4,7 milionů Kč až úsporu 56,7 milionů Kč v prvních pěti letech ve srovnání s komparátorem SOLIRIS. Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné důkazy považovat za akceptovatelný. V alternativním scénáři ve srovnání s podpůrnou péčí ukazuje analýza dopadu na rozpočet výsledek ve výši 271,8–346,5 milionů Kč v prvních pěti letech.

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 není stanovena.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.