

SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS75774/2021, datum: 27. 5. 2021

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek REBLOZYL (obsahující léčivou látku luspatercept) je určený k léčbě pacientů s anémií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) s velmi nízkým, nízkým a středním rizikem progresu do akutní myeloidní leukemie a s přítomností prstenčitých sideroblastů. Přípravek je podáván v druhé linii léčby u pacientů, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) REBLOZYL představuje přidanou hodnotu u pacientů s anémií závislou na transfuzích v důsledku MDS oproti dostupné terapii, kterou představuje podpůrná léčba reprezentovaná především transfuzemi erytrocytů a podáním léčivých látek snižujících zátěž železem v důsledku opakovaných transfuzí. K benefitům REBLOZYLU, ve srovnání s podpůrnou léčbou, patří snížení transfuzní zátěže pacientů a komplikací způsobených opakovanými transfuzemi, což se projeví i ve zvýšené kvalitě života.

Přípravek nesplňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), neboť má v posuzované indikaci trvale hrazenou alternativu (transfuze erytrocytů). Zákonem stanovenou podmínkou pro přiznání dočasné úhrady je dále úhrada přípravku z veřejných prostředků alespoň ve 2 zemích referenčního koše, což přípravek v současné době rovněž nesplňuje. Další zákonnou podmínkou je předložení závazků uzavřených mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami, které však nebyly předloženy.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty zařazení přípravku REBLOZYL 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 MDS i dostupné vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku REBLOZYL nebude v další fázi správného řízení stanovena dočasná úhrada ze zdravotního pojištění, pokud žádný z účastníků řízení (zejména farmaceutická společnost) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS75774/2021

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG

Zástupce: Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.,

Léčivá látka a cesta podání: luspatercept, injekce

ATC: B03XA06

Léčivé přípravky:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG

Posuzovaná indikace: léčba dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku MDS velmi nízkého, nízkého a středního rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Stanovisko k žádosti

Předložené klinické podklady prokázaly významný benefit přípravku REBLOZYL ve snížení transfuzní zátěže oproti současné podpůrné léčbě představované transfuzemi erytrocytů a léčivými přípravky snižujícími zátěž železem. V registrační studii bylo prokázáno statisticky i klinicky významné snížení transfuzní zátěže.

Přípravek však nesplňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), neboť má v posuzované indikaci trvale hrazenou alternativu (transfuze erytrocytů).

Zákonem stanovenou podmínkou pro přiznání dočasné úhrady je dále úhrada přípravku z veřejných prostředků alespoň ve 2 zemích referenčního koše, což přípravek v současné době nesplňuje. Další zákonnou podmínkou je předložení závazků uzavřených mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami, které však nebyly předloženy. Ústav proto navrhuje žádost v části stanovení dočasné úhrady zamítnout.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP nebo PZLÚ

Léčivý přípravek byl posouzen jako nezaměnitelný s žádnou referenční skupinou.

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

Maximální cena

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

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: MC (Kč)	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1	39 308,89	36 733,58	42 158,88
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1	117 926,66	110 175,87	124 561,13

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

3,5714 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznávána.