

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS320485/2020, datum: 21.07.2021

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek NATPAR (obsahující léčivou látku lidský rekombinantní parathormon) je určený k léčbě pacientů s chronickou hypoparathyreózou, kteří nejsou dostatečně kontrolováni samostatnou standardní léčbou. Jde o vzácné endokrinní onemocnění, při kterém příštítná tělíska produkují nedostatečné množství parathormonu, aby udržela koncentraci vápníku v normálních hodnotách.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) NATPAR představuje přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s chronickou hypoparathyreózou oproti dostupné standardní terapii vápníkem a vitamínem D. Přípravek má potenciál zlepšit kompenzaci onemocnění.

Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba vápníkem a vitamínem D. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění. Nicméně, předložené analýzy nákladové efektivity neprokázaly, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Ústav vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku NATPAR 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.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku NATPAR bude v další fázi správného řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek bude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen, pokud ve správním řízení dojde k dohodě účastníků na snížení nákladů na přípravek. Je zapotřebí, aby souhlas s úhradou ve správním řízení vyslovily všechny zdravotní pojišťovny. Pokud k tomuto nedojde, léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS320485/2020

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd.

Zástupce: Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: parathormon, humánní rekombinantní, subkutánní

ATC: H05AA03

Léčivý přípravek: NATPAR, 25MCG INJ PSO LQF 2; NATPAR, 50MCG INJ PSO LQF 2; NATPAR, 75MCG INJ PSO LQF 2; NATPAR, 100MCG INJ PSO LQF 2

Držitel rozhodnutí o registraci: Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd., Block 2 & 3, Miesian Plaza, 50 - 58 Baggot Street Lower, D02 Y754 Dublin 2, Irsko

Posuzovaná indikace

Přídavná léčba dospělých pacientů s chronickou hypoparathyreózou, kteří nejsou dostatečně kontrolováni samostatnou standardní léčbou.

Stanovisko k žádosti

Substituce rekombinantního lidského parathormonu je fyziologickou léčbou, přípravek NATPAR ovlivňuje základní mechanismus onemocnění. Přípravek NATPAR prokázal kontrolu kalcémie i dalších sledovaných parametrů kalciofosfátového metabolismu, jejich významné zlepšení, což umožnilo podstatné snížení dávek vápníku a vitamínu D, přípravek nezhoršuje renální funkce. Předpokládá se, že použití přípravku NATPAR sníží chronické komplikace onemocnění, zejména renální a v dlouhodobé rovině i kardiovaskulární. Limitací klinické evidence je zejména krátkodobý design dodaných podkladů.

Žadatelem předložená analýza nákladové efektivity splňuje minimální požadavky na kvalitu, nicméně Ústavem preferovaný základní scénář předložené analýzy ukazuje ICER ve výši 4,9 milionů Kč/QALY. Léčivý přípravek NATPAR nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi.

Žadatel předložil scénáře s navrženým finančním ujednáním. Na základě předložených scénářů lze konstatovat, že při zohlednění navrženého cenového ujednání na hodnocený přípravek by bylo možné hodnocenou intervencí považovat za nákladově efektivní.

Analýza dopadu na rozpočet ukazuje výsledek ve výši 69,6 až 161,9 milionů Kč v prvních pěti letech. Vzhledem k tomu, že Ústav nedisponuje důkazem, podle kterého by stanovení úhrady přípravku NATPAR vedlo k ohrožení veřejného zájmu, považuje dopad na rozpočet za akceptovatelný.

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

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

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0222157	NATPAR	25MCG INJ PSO LQF 2	130 848,40	147 755,70
0222158	NATPAR	50MCG INJ PSO LQF 2	130 848,40	147 755,70
0222159	NATPAR	75MCG INJ PSO LQF 2	130 848,40	147 755,70
0222160	NATPAR	100MCG INJ PSO LQF 2	130 848,40	147 755,70

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

0,1000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, může být stanovena následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné v Kypru.

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0222157	NATPAR	25MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	129 327,15	145 341,01
0222158	NATPAR	50MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	129 327,15	145 576,96
0222159	NATPAR	75MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	129 327,15	145 812,91
0222160	NATPAR	100MCG INJ PSO LQF 2	129 327,15	129 327,15	146 048,86

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.

Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na snížení nákladů, mohou být podmínky úhrady stanoveny následovně:

S

P: Parathyroidní hormon PTH (1-84) je hrazen jako přídavná léčba dospělých pacientů s chronickou hypoparathyreózou, kteří nejsou dostatečně kontrolováni samostatnou standardní léčbou.

Odpověď na léčbu je vyhodnocena po 24 týdnech, kdy v léčbě pokračují pacienti, kteří splnili všechna následující kritéria:

- 1) 50 % či vyšší snížení dávek perorálního kalcia oproti zahájení léčby,
- 2) 50 % či vyšší snížení dávek aktivního vitamínu D oproti zahájení léčby,
- 3) udržení stabilní hladiny celkového sérového kalcia korigovaného dle albuminu vyšší nebo rovné koncentraci při zahájení léčby a nižší nebo rovné horní hranici normálu (ULN).