

## SOUHRN KE 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS21061/2021, datum: 6. 12. 2021

### Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek POTELIGEO (obsahující léčivou látku mogamulizumab) je určený k léčbě dospělých pacientů s mycosis fungoides (MF) nebo Sézaryho syndromem (SS) (což jsou nádory tvořené zhoubnými krevními buňkami bílé krevní řady s typickým postižením kůže), kteří dostali alespoň jednu předchozí systémovou terapii.

### Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) POTELIGEO představuje přidanou hodnotu u skupiny pacientů s pokročilým onemocněním (s MF nebo SS, kteří dostali alespoň jednu předchozí systémovou terapii) oproti terapii užití v registrační studii (vorinostat), kterou lze podle názoru Ústavu na základě dostupných dat považovat za srovnatelně účinnou s alternativou dostupnou a standardně užívanou v české klinické praxi (imunomodulátor bexaroten). Přípravek má potenciál významně prodloužit přežívání pacientů bez progresse onemocnění (PFS).

Přípravek je významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba bexarotemem. Předložené analýzy však dostatečným způsobem nedokládají, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. Proto Ústav nemohl přípravek posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Na základě vlastní kalkulace Ústavu představuje zařazení přípravku do systému úhrad 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 POTELIGEO 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 periferních T-lymfomů (mycosis fungoides a Sézaryho syndromu) i dostupné vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP.

### Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku POTELIGEO bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, pokud ve správním řízení dojde k dohodě účastníků o snížení nákladů na přípravek. Je nezbytné, 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: SUKLS21061/2021

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Kyowa Kirin Holdings B.V.**

Zástupce: **MUDr. Jana Skoupá**

Léčivá látka a cesta podání: mogamulizumab, parenterální podání (formou nitrožilní infúze)

ATC: L01XC25

Léčivý přípravek: POTELIGEO 4MG/ML INF CNC SOL 1X5ML

Držitel rozhodnutí o registraci: **Kyowa Kirin Holdings B.V.**

## Posuzovaná indikace

Mycosis fungoides a Sézaryho syndrom patří mezi takzvané periferní kožní lymfomy z T-buněk, což jsou vzácná zhoubná onemocnění z periferních T-lymfocytů nebo zralých NK (*natural killer*) buněk. Periferní T-lymfomy jsou obtížně léčitelné, dostupná léčba nepřináší uspokojivé výsledky.

## Stanovisko k žádosti

Klinická data o přínosu terapie léčivým přípravkem POTELIGEO poskytuje nezaslepená randomizovaná kontrolovaná studie MAVORIC, jejíž výstupy jsou však provázeny nejistotou (důvody: srovnání s terapií neodpovídající české klinické praxi, vysoká míra přechodu pacientů z komparátorového ramene po progresi na hodnocenou léčbu). S ohledem na další podklady shromážděné v průběhu řízení (nepřímé srovnání s databází HES z britské klinické praxe, retrospektivní studie dokládající srovnatelnou účinnost dosavadních dostupných léčebných modalit v následných liniích léčby) však Ústav považuje nejistotu vyhodnocení přínosu mogamulizumabu ve srovnání s vorinostatem (jakožto terapie s obdobnou účinností jako má v praxi užívaný bexaroten) pro parametr přežití bez progresu a ve srovnání s výstupy britské databáze pro parametr celkového přežití za akceptovatelnou.

Základní scénář analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku POTELIGEO ve srovnání s komparátorem bexaroten ukazuje ICER ve výši 1 377 741 Kč/QALY. Proto Ústav nemohl přípravek posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Při zohlednění žadatelem navrženého ujednání o limitaci nákladů na přípravek POTELIGEO je výsledek analýzy nákladové efektivity příznivější.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku POTELIGEO ve srovnání s komparátorem bexaroten odhaduje 11 až 24 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 23,4 až 84,9 milionů Kč v prvních pěti letech. Výsledný dopad na rozpočet lze považovat za akceptovatelný. Při zohlednění žadatelem navrženého ujednání o limitaci nákladů na přípravek POTELIGEO je výsledek analýzy dopadu na rozpočet příznivější.

**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	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238261	POTELIGEO	4MG/ML INF CNC SOL 1X5ML	<b>37 284,54</b>	42 777,05

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

5,3571 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 Itálii.*

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)
0238261	POTELIGEO	4MG/ML INF CNC SOL 1X5ML	<b>33 874,24</b>	35 228,53	38 950,70

## Podmínky úhrady

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

**S**  
**P:** *Mogamulizumab je hrazen k léčbě dospělých pacientů s mycosis fungoides (MF) stádia IIB-IV nebo Sézaryho syndromem (SS), kteří již byli léčeni alespoň jednou předchozí systémovou terapií, mají stav výkonnosti podle ECOG 0-1. Léčba je hrazena do progresu onemocnění nebo nepřijatelné toxicity, v případě dosažení kompletní odpovědi onemocnění maximálně po dobu 12 měsíců (od okamžiku dosažení kompletní odpovědi).*