

SOUHRN KE 3. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS75774/2021, datum: 17. 6. 2022

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 vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Přípravek je dále určen k terapii dospělých pacientů s anémií závislou na transfuzích související s beta-talasémií. Beta-talasemie je dědičné onemocnění krve, při němž je narušena tvorba bílkovinných součástí krevního barviva hemoglobinu. Beta-talasemie je dána poruchou syntézy beta-řetězců. Základním projevem je anemie, jejíž tíže závisí na typu genetického postižení. Nejzávažnější formou je beta-talasemie major, kdy pacienti jsou celoživotně závislí na pravidelných transfuzích s nežádoucími účinky (postižení různých orgánů nadměrnou zátěží železem).

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 i beta-talasemie oproti dostupné terapii, kterou představuje pouze 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 splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), neboť nemá v posuzovaných indikacích trvale hrazenou alternativu, pouze léčbu prostřednictvím podpůrné péče, která zahrnuje pravidelné transfuze erytrocytů a chelatační léčbu. Zákonnou podmínkou pro přiznání statusu VILP 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 a beta-talasemie i dostupné vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP (ČHS).

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku REBLOZYL bude v další fázi správného řízení přiznána dočasná úhrada, pouze pokud žadatel doloží závazky uzavřené se všemi zdravotními pojišťovnami a pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) 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 prstencitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.
- léčba dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích související s beta-talasemií.

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 jak v případě pacientů s MDS, tak u pacientů s beta-talasemií. V registračních studiích bylo prokázáno statisticky významné snížení transfuzní zátěže.

Posuzovaný přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), neboť nemá v posuzované indikaci trvale hrazenou alternativu, což potvrdila i ČHS.

Analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku REBLOZYL v obou posuzovaných indikacích obsahují limitace, které znemožňují předloženou analýzu vyhodnotit. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Nicméně LP REBLOZYL je v hodnocených indikacích vyhodnocen jako vysoce inovativní, z tohoto důvodu není prokázání nákladové efektivity v tuto chvíli vyžadováno. Prokázání nákladové efektivity bude vyžadováno u případného stanovení trvalé úhrady.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku REBLOZYL v indikaci anemie související s myelodysplastickým syndromem, odhaduje 65 až 50 nově léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 101 až 170 milionů Kč v prvních pěti letech.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku REBLOZYL v indikaci anemie související s beta-talasemií odhaduje 17 až 34 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 16,9 až 9,4 milionů Kč v prvních pěti letech.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující limitaci nákladů.

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	35 515,75	40 792,47
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1	117 926,66	98 957,41	111 974,01

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

3,5714 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena. Pokud však bude předložen závazek pro vysoce inovativní léčivý přípravek uzavřený mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami, může být stanovena následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižších cen obou přípravků v EU zjištěných v Německu.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR v SCAU (Kč)
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1	35483,48	28 311,34	32 709,12
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1	104990,83	84 933,77	96 239,49

Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny. Pokud však bude předložen závazek pro vysoce inovativní léčivý přípravek uzavřený mezi farmaceutickou společností a zdravotními pojišťovnami, mohou být podmínky úhrady stanoveny následovně:

S

P: *Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích:*

- *v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.*
- *v důsledku beta-talasemie. Léčba je ukončena, pokud po 48 týdnech léčby není dosaženo odpovědi na léčbu definované jako snížení transfuzní zátěže o 33 % a více po dobu alespoň 24 týdnů, při přerušení léčby na 15 a více týdnů nebo při výskytu neakceptovatelné toxicity.*