

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS245158/2021, datum: 8. 9. 2022

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek EVRYSDI (obsahující léčivou látku risdiplam) je určený k léčbě spinální svalové atrofie (SMA) vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu u pacientů ve věku od 2 měsíců s klinickou diagnózou SMA 1. typu, 2. typu nebo 3. typu (typ I až III) nebo s jednou až čtyřmi kopiemi genu SMN2. Jde o vzácné, geneticky podmíněné neurodegenerativní onemocnění vedoucí při neléčbě k nevratnému poškození motorického svalstva, pacienti nejsou například schopni pohybu, samostatného dýchání a dochází k předčasnému úmrtí.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) EVRYSDI představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace pacientů se SMA oproti dostupné podpurné terapii. Přípravek má potenciál prodloužit přežití, zlepšit kvalitu života, redukovat klinicky významné symptomy onemocnění. Dostupné podklady naznačují vyšší klinický přínos risdiplamu oproti nusinersenu u SMA 1. typu. Na základě dostupných podkladů nelze dostatečně vyhodnotit míru klinického přínosu risdiplamu oproti nusinersenu u SMA 2. typu a 3. typu ani oproti onasemnogen-abeparovecu u SMA 1. typu.

Přípravek je v případě SMA typu I významně nákladnější než dostupná hrazená standardní léčba nusinersenem (LP SPINRAZA). Předložené analýzy neprokázaly, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. Současně nelze na základě dostupných údajů vyhodnotit, zda risdiplam představuje přidanou hodnotu ve srovnání s dostupnou hrazenou standardní léčbou genovou terapií onasemnogen-abeparovec (LP ZOLGENSMA) pro SMA typu I a ve srovnání s genovou terapií a nusinersenem pro SMA typu II a III. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit jako nákladově efektivní léčbu. Zařazení přípravku do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústav z důvodu neprokázané nákladové efektivity vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku EVRYSDI 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. Ústav vzal v potaz aktuální odborné stanovisko České neurologické společnosti ČLS JEP a Společnosti dětské neurologie ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku EVRYSDI nebude v další fázi správného 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: SUKLS245158/2021

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Roche Registration GmbH

Zástupce: Roche s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: risdiplam, perorální

ATC: M09AX10

Léčivý přípravek: EVRYSDI, 0,75MG/ML POR PLV SOL 1+AD+2XSTŘ

Držitel rozhodnutí o registraci: Roche Registration GmbH

Posuzovaná indikace

Léčba spinální svalové atrofie (SMA) vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu u pacientů ve věku od 2 měsíců s klinickou diagnózou SMA 1. typu, 2. typu nebo 3. typu nebo s jednou až čtyřmi kopiemi genu SMN2.

Stanovisko k žádosti

Ústav považuje klinický přínos léčivého přípravku EVRYSDI u populace, pro kterou je žádáno o stanovení úhrady, za prokázaný.

Ústav uzavírá, že nákladová efektivita risdiplamu v indikaci spinální svalová atrofie u populace pacientů s klinickou diagnózou SMA typu I až III nebyla prokázána, neboť Ústav nedisponuje relevantními metodicky správnými srovnáními oproti všem relevantním komparátorům.

Analýza dopadu na rozpočet u populace pacientů ve věku od 2 měsíců s klinickou diagnózou SMA typu I–III odhaduje 82 až 150 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši úspory 4,4 až 9,1 milionů Kč v prvních pěti letech. Tento výsledek však nelze považovat za relevantní, neboť lze důvodně předpokládat, že reálné náklady na komparátory jsou ovlivněny smlouvami o limitaci nákladů. Vzhledem k tomu, že Ústav nedisponuje důkazem, podle kterého by stanovení úhrady vedlo k ohrožení veřejného zájmu, považuje dopad na rozpočet za akceptovatelný.

Ústavu nebyly předloženy smlouvy uzavřené mezi držiteli rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami zajišťující 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 (léčivý přípravek pro vzácná onemocnění).

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0250517	EVRYSDI	0,75MG/ML POR PLV SOL 1+AD+2XSTRĚ	196 287,18	221 178,02

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

Vzhledem k různému rozsahu dávkování je ODTD risdiplamu stanovena v souladu s ustanovením § 15 odst. 4 vyhlášky č. 376/2011 Sb., na jednotku hmotnosti přípravku, a to 1 mg.

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.