

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS138324/2022, datum: 27. 10. 2022

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek CABLIVI (obsahující léčivou látku kaplacizumab, CAP) je určený k léčbě pacientů (dospívajících ve věku 12 let a starších s tělesnou hmotností alespoň 40 kg a dospělých) s epizodou získané trombotické trombocytopenické purpury (aTTP) ve spojení s denní výměnou plazmy a imunosupresí (kortikosteroidy).

Získaná trombotická trombocytopenická purpura (aTTP) je závažná život-ohrožující porucha srážení krve. Během epizody aTTP dochází k intenzivní tvorbě krevních sraženin v malých krevních cévách a pacient má nízký počet krevních destiček.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek CABLIVI (ve spojení s výměnou plazmy a imunosupresí) představuje přidanou hodnotu v plném rozsahu schválené registrace u dospívajících ve věku 12 let a starších a dospělých pacientů s epizodou Attp oproti dostupné terapii samotnou výměnou plazmy a imunosupresí.

Přípravek podávaný společně s výměnou plazmy a imunosupresivní léčbou má potenciál urychlit normalizaci počtu krevních destiček ve srovnání se standardní léčbou, tj. výměnou plazmy a imunosupresivní léčbou. Zkrácení doby potřebné pro normalizaci počtu krevních destiček je spojeno s kratším trváním léčby výměnou plazmy a kratším pobytem v zařízení intenzivní péče.

Přípravek však nespĺňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP). **Žadatel požaduje stanovení druhé dočasné úhrady za splnění kritéria: „primární klinicky významný cíl v klinické studii prokázal, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě“. S ohledem na dostupnou evidenci, tj. na základě hodnocení dat z klinické studie HERCULES nelze jednoznačně prokázat, že primární cíl studie: kratší doba do dosažení normalizace počtu trombocytů, tj. dřívější odeznění symptomů onemocnění, a s tím spojená kratší hospitalizace, má vliv na kvalitu života pacientů s aTTP.**

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty zařazení přípravku CABLIVI do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální česká i zahraniční doporučení pro použití CAP u pacientů s aTTP.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku CABLIVI nebude v další fázi správného řízení stanovena 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: SUKLS138324/2022

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Ablynx NV, IČ: 0001617582, Technologiepark 21, 9052 Zwijnaarde, Belgické království  
Zástupce: Sanofi-Aventis, s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: caplacizumab, subkutánnípodání

ATC: B01AX07

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název	Doplňk názvu
0223067	CABLIVI	10MG INJ PSO LQF 1+1X1ML ISP+AD+J

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Sanofi-Aventis, s.r.o.

## Posuzovaná indikace

Léčba dospělých a dospívajících ve věku od 12 let a starších s tělesnou hmotností alespoň 40 kg s epizodou získané trombotické trombocytopenické purpury (aTTP) ve spojení s výměnou plazmy a imunosupresí.

## Stanovisko k žádosti

Účinnost a bezpečnost CAP v léčbě aTTP u dospělých je doložena randomizovanou kontrolovanou klinickou studií fáze III (HERCULES). Účinnost a bezpečnost CAP v léčbě aTTP u dospívajících byla modelována ve farmakokineticko-farmakodynamické (PK/PD) studii. Klinický přínos LP CABLIVI byl dostatečně prokázán nejen výše uvedenou klinickou studií, ale také daty z klinické praxe v ČR i v zahraničí.

Předloženou studii HERCULES však nelze považovat za doklad pro dostatečné odůvodnění přínosu léčby přípravkem CABLIVI stran žadatelem požadovaného kritéria „primární klinicky významný cíl v klinické studii prokázal, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě“, neboť primárně sledovaný parametr v této klinické studii (doba do normalizace počtu trombocytů) nelze považovat za klinicky významný parametr, který má dopad na kvalitu života, což je potvrzeno i závěry jiných lékových agentur.

Ústav z tohoto důvodu navrhuje s odkazem na ustanovení § 51 odst. 3 správního řádu žádost zamítnout, jelikož žádosti žadatele (o stanovení druhé dočasné úhrady LP CABLIVI s přiznáním statutu vysoké inovativnosti) nelze vyhovět.

Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet není dle ustanovení § 39d odst. 3, zákona o veřejném zdravotním pojištění, v případě stanovení druhé dočasné úhrady vysoce inovativního léčivého přípravku vyžadováno.

## 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.

## Maximální cena

Maximální cena nezměněna.

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

10,0000 mg/den

## Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

## Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.