

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS159868/2022, datum: 22. 12. 2022

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Léčivé přípravky ULTOMIRIS (obsahující léčivou látku ravulizumab) jsou určeny k léčbě pacientů se závažným hematologickým onemocněním paroxysmální noční hemoglobinurie (dále jen „PNH“) nebo pacientů se závažným onemocněním atypický hemolyticko-uremický syndrom (dále jen „aHUS“). Používají se u pacientů s klinickými příznaky onemocnění s cílem těmto příznakům zamezit nebo je zmírnit. Je žádáno o stanovení úhrady jak pro pacienty bez předléčení inhibitory komplementu, tak pro pacienty již inhibitory komplementu léčené.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivé přípravky (dále jen „LP“) ULTOMIRIS byly zhodnoceny jako terapeuticky zaměnitelné (obdobně účinné, bezpečné a se stejnou pozicí v léčbě) s dostupnou, avšak trvale standardně nehrazenou terapií – léčivým přípravkem SOLIRIS (obsahující léčivou látku ekulizumab). Přípravky mají potenciál snížit riziko úmrtí pacienta, snížit výskyt klinicky významných symptomů onemocnění a/nebo jejich tíži a zlepšit kvalitu života pacientů.

V průběhu správního řízení nebylo prokázáno, že léčba LP ULTOMIRIS v indikaci PNH je i obdobně nákladná ve srovnání s léčbou ekulizumabem (LP SOLIRIS). Ústav proto přípravek v indikaci PNH nemohl posoudit jako nákladově efektivní terapii.

V indikaci aHUS bylo prokázáno, že přípravky jsou méně nákladné než léčba ekulizumabem (LP SOLIRIS). Zařazení přípravků do systému úhrad představuje dle shromážděných důkazů v indikaci léčba aHUS akceptovatelný finanční dopad na prostředky veřejného zdravotního pojištění.

Ústav dále uvádí, že nestanovuje úhradu pro pacienty s PNH nebo aHUS, kteří doposud nebyli léčeni inhibitory komplementu, neboť bylo doloženo podáními příslušných odborných společností, že takový postup není pro předmětné LP ULTOMIRIS v souladu s klinickou praxí.

S ohledem na neprokázání nákladové efektivity přípravků v indikaci PNH Ústav navrhuje úhradu v této indikaci nepřiznat.

V indikaci aHUS přípravky prokázaly nákladovou efektivitu, a proto v této indikaci Ústav navrhuje úhradu přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení LP ULTOMIRIS 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 odborná stanoviska odborných společností České hematologické společnosti ČLS JEP a České nefrologické společnosti ČLS JEP.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

LP ULTOMIRIS bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada pouze v indikaci aHUS.

V indikaci PNH bude úhrada léčivým přípravkům stanovena pouze v případě, že ve správním řízení dojde k dohodě účastníků na snížení nákladů na přípravky. Je nezbytné, aby ve správním řízení byly předloženy smlouvy o limitaci nákladů uzavřené mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami. **Pokud k tomuto nedojde, léčivé přípravky nebudou v indikaci PNH z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazeny** (jako je tomu u trvale nehrazeného LP SOLIRIS).

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS159868/2022

Léčivý přípravek/ potravina pro zvláštní lékařské účely a žadatel

Žadatel: Alexion Europe SAS

Zástupce: AstraZeneca Czech Republic s.r.o

Léčivá látka a cesta podání: ravulizumab, koncentrát pro infuzní roztok

ATC: L01AA43

Léčivý přípravek: ULTOMIRIS 300MG/30ML INF CNC SOL 1X30ML, kód SÚKL 0538548, ULTOMIRIS 300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML, kód SÚKL 0250232

Držitel rozhodnutí o registraci: Alexion Europe SAS

Posuzovaná indikace

Léčba dospělých pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií (PNH): u pacientů s hemolýzou s klinickým příznakem (klinickými příznaky) svědčícím (svědčícími) o vysoké aktivitě onemocnění a dále u pacientů, kteří jsou klinicky stabilní nejméně po dobu posledních 6 měsíců léčby ekulizumabem.

Léčba pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS), kteří doposud nebyli léčeni inhibitory komplementu nebo jim byl podáván ekulizumab nejméně po dobu 3 měsíců a byla u nich prokázána odpověď na ekulizumab.

Stanovisko k žádosti

Ústav neshledal zásadní limitace předložených klinických podkladů a klinický přínos ve smyslu snížení rizika úmrtí spolu se zvýšením kvality života u hodnocené populace považuje za prokázány.

Ústav nestanovuje úhradu pro pacienty se symptomatickou PNH nebo aHUS, kteří doposud nebyli léčeni inhibitory komplementu, neboť LP ULTOMIRIS s obsahem léčivé látky ravulizumab se prakticky uplatňuje až v druhé linii léčby PNH nebo aHUS.

S ohledem na obdobnou účinnost předložil žadatel analýzu typu CMA (analýza minimalizace nákladů) v obou indikacích.

V indikaci PNH je hodnocený přípravek ve srovnání s komparátorem v horizontu 20 let o 18 775 874 Kč **nákladnější** u dospělých a o 11 678 681 Kč **nákladnější** u dětí. **Léčivý přípravek tak nelze v indikaci PNH považovat za nákladově efektivní terapii.**

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

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 17 až 18 léčených pacientů s PNH a ukazuje výsledek ve výši 46 mil. Kč v 1. roce až 19 mil. Kč v 5. roce. **Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné podklady považovat za akceptovatelný.**

V indikaci aHUS je hodnocený přípravek ve srovnání s komparátorem v horizontu 20 let o 19 013 903 Kč méně nákladný u dospělých a o 18 029 444 Kč méně nákladný u dětí. Léčivý přípravek tak lze v indikaci aHUS považovat za nákladově efektivní terapii.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 28 až 33 léčených pacientů s aHUS a ukazuje výsledek ve výši 7,9 mil. Kč v 1. roce až úsporu 41,9 mil. Kč v 5. roce. **Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na shromážděné podklady považovat za akceptovatelný.**

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

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP nebo PZLÚ

Léčivé přípravky byly posouzeny jako nezaměnitelné s žádnou referenční skupinou.

K léčivým přípravkům nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0538548	ULTOMIRIS	300MG/30ML INF CNC SOL 1X30ML	110 147,46	124 529,25
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	107 650,19	121 727,31

Ústav porovnal návrh žadatele a stanovisko Ústavu u výše uvedených léčivých přípravků a pro stanovení MC je rozhodná nižší z obou hodnot s ohledem na ustanovení § 39g odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

58,9286 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně.

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny v EU zjištěné ve Slovinsku.

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR (Kč)
0538548	ULTOMIRIS	300MG/30ML INF CNC SOL 1X30ML	105 670,51	105 670,51	119 506,11
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML	105 670,21	105 670,51	119 506,11

Ústav porovnal návrh žadatele a stanovisko Ústavu u výše uvedených léčivých přípravků a pro stanovení úhrady je rozhodná nižší z obou hodnot s ohledem na ustanovení § 39g odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Podmínky úhrady

S

P: Ravulizumab je hrazen u pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS), kterým byl podáván ekulizumab nejméně po dobu 6 měsíců a byla u nich prokázána odpověď na ekulizumab.

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

S

P: Ravulizumab je hrazen:

1) v léčbě dospělých pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií (PNH) u pacientů s hemolýzou s klinickým příznakem (klinickými příznaky) svědčícím (svědčícími) o vysoké aktivitě onemocnění, kteří jsou klinicky stabilní nejméně po dobu posledních 6 měsíců léčby ekulizumabem;

2) u pacientů s tělesnou hmotností 10 kg nebo vyšší s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS), kterým byl podáván ekulizumab nejméně po dobu 6 měsíců a byla u nich prokázána odpověď na ekulizumab.