

SOUHRN KE 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS89035/2022, datum: 2. 3. 2023

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek VYXEOS LIPOSOMAL (obsahující fixní kombinaci léčivých látek daunorubicinu a cytarabinu v liposomální formě) je určený k léčbě dospělých pacientů s nově diagnostikovanou akutní myeloidní leukémií související s léčbou (t-AML) nebo AML se změnami souvisejícími s myelodysplazií (AML-MRC).

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek VYXEOS LIPOSOMAL (dále jen „přípravek“) představuje přidanou hodnotu u definované skupiny dospělých pacientů ve věku od 60 let pacientů s nově diagnostikovanou t-AML nebo AML-MRC oproti dostupné terapii standardním režimem „7 + 3“ (oproti volné kombinaci antracyklinu a cytarabinu). Přípravek má potenciál u těchto pacientů statisticky i klinicky prodloužit přežití (v mediánu cca o 3 měsíce) a zvýšit podíl pacientů žijících v 5 letech od zahájení léčby (cca o 10 %).

Pro skupinu pacientů mladších 60 let je potenciální přínos terapie přípravkem VYXEOS LIPOSOMAL provázen velmi vysokou mírou nejistoty (tito pacienti nebyli zahrnuti v registrační studii a výstupy z francouzské klinické praxe ukazují tendenci k horším výsledkům pro přípravek VYXEOS LIPOSOMAL oproti standardnímu režimu „7 + 3“). Pro tuto skupinu tedy nelze mít ani za prokázané splnění kritérií vysoké inovativnosti.

Přípravek splňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP), jelikož vede (u pacientů od 60 let věku) k prodloužení střední doby celkového přežití alespoň o 30 % oproti hrazené léčbě, nejméně však o 3 měsíce.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje úhradu pro pacienty od 60 let věku přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku VYXEOS LIPOSOMAL 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 akutní myeloidní leukémie.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku VYXEOS LIPOSOMAL bude v další fázi správního řízení přiznána dočasná úhrada na 3 roky, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS89035/2022

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: **Jazz Pharmaceuticals Ireland**

Zástupce: **Swixx Biopharma s.r.o.**

Léčivá látka a cesta podání:

ATC: L01XY01

Léčivý přípravek:

VYXEOS LIPOSOMAL 44MG/100MG INF PLV CSL 1

Držitel rozhodnutí o registraci: **Jazz Pharmaceuticals Ireland**

Posuzovaná indikace

Akutní myeloidní leukémie (AML) je maligní klonální onemocnění hematopoetické tkáně s akumulací nezralých myeloidních buněk (blastů) v kostní dřeni a dalších tkáních. S rostoucím věkem ubývá případů AML na podkladě genetických abnormalit a roste zastoupení jiných kategorií, jako jsou právě AML se změnami souvisejícími s myelodysplazií (*myelodysplasia-related changes*, MRC-AML) nebo AML spojená s léčbou (*therapy related AML* (tAML), která bývá pozdní komplikací cytotoxické chemoterapie.

Stanovisko k žádosti

Přínos léčivého přípravku dokládají výsledky nezaslepené randomizované kontrolované studie fáze III prokazující u cílové skupiny pacientů ve věku 60-75 let především skutečnost, že přípravek VYXEOS LIPOSOMAL prodlužuje střední dobu přežití léčených pacientů alespoň o 30 % (doloženo prodloužení mediánu přežití z 5,95 měsíců na 9,33 měsíce, tj. cca o 56,8 %) a v měsících o více než 3 měsíce (doloženo prodloužení mediánu přežití o 3,38 měsíců). Jsou tedy (pro skupinu pacientů od 60 let věku) naplněny požadavky jednoho ze zákonných ustanovení pro přiznání statutu vysoké inovativnosti (VILP).

Analýza nákladové efektivity léčivého přípravku VYXEOS LIPOSOMAL ve srovnání s režimem „3 + 7“ obsahuje závažné limitace. Její výsledky proto Ústav nepovažuje za relevantní. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Ústav doplňuje, že pro přiznání dočasné úhrady není průkaz nákladové efektivity nezbytný.

Analýza dopadu na rozpočet odhaduje 30 až 36 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 43,3 až 51,9 milionů Kč v prvních pěti letech. Při zohlednění uzavřeného finančního ujednání je výsledek příznivější.

Ústavu byly předloženy smlouvy uzavřené mezi držitelem 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:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0238215	VYXEOS LIPOSOMAL	44MG/100MG INF PLV CSL 1	120 898,69	136 592,13

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

Není stanovena (složený léčivý přípravek).

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena dočasná na 3 roky následovně.

Výše úhrady 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)
0238215	VYXEOS LIPOSOMAL	44MG/100MG INF PLV CSL 1	115 695,69	115 695,69	130 754,36

Podmínky úhrady

Jsou stanoveny následovně:

S

P: Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů ve věku od 60 let s nově diagnostikovanou akutní myeloidní leukémií související s léčbou nebo se změnami souvisejícími s myelodysplazií. Ze zdravotního pojištění jsou hrazeny nejvýše dva cykly indukční fáze a v případě dosažení kompletní remise (s úplnou či neúplnou úpravou neutrofilů či trombocytů v krevním obraze) nejvýše dva cykly konsolidační fáze léčby.