

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS267819/2022, datum: 24. 3. 2023

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek NEXVIADYME (obsahující léčivou látku avalglukosidáza alfa) je určen k enzymatické substituční léčbě Pompeho choroby.

Pompeho choroba (PD) je velmi vzácné dědičné onemocnění. Příčinou je mutace genu pro enzym (kyselá alfa glukosidáza), který rozkládá glykogen. Pokud je tento enzym v lidském organismu deficitní, nebo je jeho aktivita snižena, dochází ke kumulaci lyzozomálního glykogenu v mnoha tkáních. Nejčastěji bývá postižené příčně pruhované svalstvo, u malých dětí je toto postižení patrné také v srdečním svalu. Mezi další tkáně a soustavy, které mohou být postiženy, patří cévní systém, centrální nervová soustava, játra a ledviny.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) NEXVIADYME je rekombinantní DNA technologií připravený enzym alfa-glukosidáza druhé generace, který má inovované složení, které by mělo zabezpečit vysokou aktivitu enzymu při léčbě PD.

Na základě odborného hodnocení dospěl Ústav k závěru, že klinická data o účinnosti a bezpečnosti avalglukosidázy alfa (NEXVIADYME) u pacientů s PD (dětských i dospělých) prokazují obdobnou účinnost a bezpečnost jakou má současná terapie alglukosidázou alfa (MYOZYME).

Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet nebylo požadováno, protože ve stejné indikaci je již se stejnými náklady hrazen terapeuticky zaměnitelný přípravek MYOZYME.

Ústav proto vydává pozitivní zhodnocení a navrhuje přípravku NEXVIADYME úhradu v posuzované indikaci přiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty i ekonomické aspekty zařazení přípravku NEXVIADYME v posuzované indikaci do 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 PD.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

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

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS267819/2022

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Sanofi B.V.

Zástupce: sanofi-aventis s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: avalglukosidáza alfa

ATC: A16AB22

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu
0268073	NEXVIADYME	100MG INF PLV CSL 1

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Sanofi B.V.

Posuzovaná indikace

Dlouhodobá enzymatická substituční léčba pacientů s Pompeho nemocí (PD), nedostatek kyselé alfa-glukosidázy.

Stanovisko k žádosti

Klinické důkazy pro průkaz účinnosti a bezpečnosti přípravku NEXVIADYME s obsahem avalglukosidázy alfa u dětských i dospělých pacientů považuje Ústav za dostatečné. V požadované indikaci je již hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění přípravek MYOZYME, který se s posuzovaným přípravkem NEXVIADYME v zásadě terapeuticky zaměnitelný.

Jelikož Ústav nestanovuje přípravku NEXVIADYME vyšší úhradu ani méně omezující podmínky úhrady oproti terapeuticky zaměnitelnému přípravku MYOZYME, není hodnocení nákladové efektivity ani dopadu na rozpočet vyžadováno.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP

Léčivý přípravek NEXVIADYME byl posouzen terapeuticky zaměnitelný s již hrazeným přípravkem MYOZYME (alglukosidáza alfa) a zařazený do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných přípravků určených k enzymatické substituční léčbě Pompeho choroby.

K léčivému přípravku nebyla identifikována srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: MC (Kč)	Stanovisko Ústavu: MC (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele (Kč)
0268073	NEXVIADYME	100MG INF PLV CSL 1	30 300,00	26 977,50	31 212,56

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

107,1429 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně:

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)
0268073	NEXVIADYME	100MG INF PLV CSL 1	22 640,15	22 658,95	27 289,85

Základní úhrada se odvíjí od základní úhrady fixované v rámci hloubkové revize systému úhrad skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků léčivých přípravků určených k enzymatické substituční léčbě Pompeho choroby. Úhrada za balení je následně ponížena na návrh žadatele.

Podmínky úhrady

Podmínky úhrady jsou stanoveny následovně:

S/J4

P: Avalglukosidáza alfa je hrazena k léčbě potvrzené diagnózy Pompeho choroby (nedostatek kyselé alfa-glukosidázy).