

SOUHRN K 1. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS322512/2021, datum: 23. 3. 2022

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek JAKAVI (obsahující léčivou látku ruxolitinib) je určený k léčbě dospělých pacientů s primární myelofibrózou (PMF), postpolycytemickou myelofibrózou (postPV MF) nebo myelofibrózou po esenciální trombocytemii (post-ET MF) a se splenomegalií a/nebo klinicky významnými příznaky onemocnění, které nelze zvládnout jinou léčebnou intervencí.

Primární myelofibróza je nádorové onemocnění kostní dřeně, které patří mezi chronické myeloproliferativní nemoci. Může se vyvinout primárně (PMF) nebo také sekundárně v důsledku dalších onemocnění jako je polycytemia vera (postPV MF) či esenciální trombocytemie (post-ET MF). V průběhu nemoci je krvetvorná tkáň kostní dřeně nahrazena vazivem a je tedy produkován menší počet krevních buněk. K úpravě nedostatku krevních buněk se krvetvorba přesunuje do jater a sleziny, což je důvodem zvětšování těchto orgánů. Častým projevem bývá únava, která je dána především nedostatkem červených krvinek. Nejčastějšími komplikacemi, které přispívají ke zvýšené morbiditě a mortalitě oproti běžné populaci jsou krvácivé a trombotické příhody. Závažnou komplikací nemoci v pozdním stadiu je přechod nemoci do akutní leukémie.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek JAKAVI představuje významnou přidanou hodnotu u omezené a definované skupiny pacientů s PMF, postPV MF nebo post-ET MF se středním 2 nebo vysokým rizikem dle skórovacího systému pro hodnocení závažnosti onemocnění (IPSS) nebo se stejným onemocněním, které během času zprogredovalo do obdobného klinického stavu oproti dostupné terapii, kterou představuje hydroxyurea, popř. anagrelid, interferon alfa a kortikoidy. Přípravek má potenciál významně zlepšit příznaky onemocnění.

Přípravek je významně nákladnější než nejlepší dostupná terapie (BAT - best available therapy). Předložené analýzy neprokázaly, že vyšší náklady jsou v akceptovatelné míře vyváženy vyššími přínosy pro pacienty. 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 s ohledem na neprokázání 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 JAKAVI 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 splenomegalie u myelofibrózy a dostupná vyjádření České hematologické společnosti.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku JAKAVI nebude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění pro žádnou s žadatelem navržených populací 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: SUKLS322512/2021

Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Novartis Europharm Limited

Zástupce: Novartis s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: ruxolitinib

ATC: L01EJ01

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu
0194117	JAKAVI	5MG TBL NOB 56
0194120	JAKAVI	15MG TBL NOB 56
0194123	JAKAVI	20MG TBL NOB 56

Držitel rozhodnutí o registraci: Novartis Europharm Limited

Posuzovaná indikace

Léčba splenomegalie a/nebo klinicky významných příznaků souvisejících s onemocněním u dospělých pacientů s primární myelofibrózou, postpolycytemickou myelofibrózou nebo myelofibrózou po esenciální trombocytemii.

Stanovisko k žádosti

Předložené klinické podklady prokázaly, že LP JAKAVI signifikantně významně zlepšuje příznaky splenomegalie u populace pacientů, kteří jsou cílovou populací dle žadatelem navrhovaných podmínek úhrady. V klinických studiích byla prokázána dlouhodobá účinnost a vliv na prodloužení celkového přežití pacientů s myelofibrózou.

Ústavem preferovaný základní scénář na základě předložené analýzy nákladové efektivity léčivého přípravku JAKAVI v indikaci splenomegalie u hodnocené populace pacientů ve srovnání s nejlepší dostupnou terapií (BAT) ukazuje ICER ve výši 1,33 milionů Kč/QALY. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku JAKAVI ve výše uvedené indikaci odhaduje 257 až 309 léčených pacientů a ukazuje výsledek ve výši 162,3 až 72,9 milionů Kč v prvních pěti letech. 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 není stanovena.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

30,0000 mg (2x denně 15,0000 mg)

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.