

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS321654/2021, datum: 12. 4. 2022

## Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek INREBIC (obsahující léčivou látku fedratinib) 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.

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 (dále jen „přípravek“) INREBIC 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.

Ústav na základě odborného hodnocení došel k závěru, že přípravek INREBIC je významně účinnější než placebo v redukci velikosti sleziny a redukci příznaků splenomegalie u pacientů s myelofibrózou. V průběhu správného řízení však nebyly předloženy validní důkazy, které by doložily, že léčba LP INREBIC je nákladově efektivní ve srovnání s relevantním komparátorem, který představuje nejlepší dostupná léčba (best available therapy, BAT) reprezentovaná hydroxyureou, popř. anagrelidem, interferonem alfa a kortikoidy. Proto Ústav přípravek nemohl posoudit, zda se jedná o nákladově efektivní léčbu.

Ústav z důvodu neprokázané 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 INREBIC 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 INREBIC nebude v další fázi správního řízení přiznána úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění hrazen, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS321654/2021

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG

Zástupce: Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.

Léčivá látka a cesta podání: fedratinib

ATC: L01EJ02

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0250391	INREBIC	100MG CPS DUR 120

Držitel rozhodnutí o registraci: Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.

## 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 INREBIC signifikantně významně zlepšuje příznaky splenomegalie u populace pacientů, kteří jsou cílovou populací dle žadatelem navrhovaných podmínek úhrady. V klinických studiích byla ve srovnání s placebem prokázána signifikantní účinnost na redukcii velikosti zvětšené sliznice a tím i redukcii příznaků spojených se splenomegalií pacientů s myelofibrózou.

Ústav konstatuje, že mu nebyla předložena metodicky vyhovující analýza nákladové efektivity oproti relevantnímu komparátoru BAT. Z tohoto důvodu nebylo v předmětném správním řízení prokázáno, že LP INREBIC splňuje podmínky účelné terapeutické intervence dle ustanovení § 15 odst. 6 písm. d) zákona o veřejném zdravotním pojištění.

## Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných LP nebo PZLÚ

Léčivý přípravek byl zařazený do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných přípravků s obsahem fedratinibu.

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

## Maximální cena

Maximální cena je stanovena následovně (přípravek pro vzácná onemocnění).

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku/PZLÚ	Doplněk názvu	Maximální cena výrobce / balení (Kč)	Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)
0250391	INREBIC	100MG CPS DUR 120	<b>111 574,01</b>	126 129,84

## Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

400,0000 mg/den

## Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

## Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.