

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS322512/2021, datum: 27. 4. 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 bude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, pokud ve správním řízení dojde k dohodě účastníků na snížení nákladů na přípravek. 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, léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění standardně hrazen.

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. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na limitaci nákladů, může být stanovena následovně:

<i>Kód SÚKL</i>	<i>Název léčivého přípravku</i>	<i>Doplněk názvu</i>	<i>Maximální cena výrobce / balení (Kč)</i>	<i>Maximální cena pro konečného spotřebitele / balení (Kč)</i>
0194117	JAKAVI	5MG TBL NOB 56	35 694,09	40 992,57
0194120	JAKAVI	15MG TBL NOB 56	70 767,15	80 344,54
0194123	JAKAVI	20MG TBL NOB 56	70 767,15	80 344,54

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

30,0000 mg (2x denně 15,0000 mg)

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada není stanovena. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na limitaci nákladů, může být stanovena následovně:

Základní úhrada se odvíjí od nejnižší ceny přípravku JAKAVI 20 MG TBL NOB 56 v EU zjištěné v Maďarsku.

<i>Kód SÚKL</i>	<i>Název</i>	<i>Doplněk názvu</i>	<i>Návrh žadatele: JUHR (Kč)</i>	<i>Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)</i>	<i>UHR v SCAU (Kč)</i>
0194117	JAKAVI	5MG TBL NOB 56	32 710,05	16 080,93	18 278,75

0194120	JAKAVI	15MG TBL NOB 56	64 546,83	48 242,78	54 836,25
0194123	JAKAVI	20MG TBL NOB 56	64 546,83	64 323,71	73 115,00

Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny. Pokud však bude dosaženo dohody účastníků na limitaci nákladů, mohou být stanoveny následovně:

S

P: Ruxolitinib je hrazen v léčbě splenomegalie a/nebo klinicky významných příznaků onemocnění u dospělých pacientů s primární myelofibrózou (PMF), postpolycytemickou myelofibrózou (post-PV MF) nebo myelofibrózou po esenciální trombocytemii (post-ET MF) se středním 2 nebo vysokým rizikem dle IPSS nebo se stejným onemocněním, které během času zprogressovalo do obdobného klinického stavu.

Léčba bude pokračovat, dokud přínos z léčby převažuje nad rizikem léčby.

Léčba bude ukončena u pacientů:

- a) *kteří na základě této léčby jsou vhodní k transplantaci*
- b) *u kterých nedojde během 6 měsíců od započetí léčby ke zmenšení velikosti sleziny nebo zlepšení příznaků onemocnění*
- c) *kteří dosáhli určitého stupně klinického zlepšení, ale dochází u nich ke zvětšování palpační velikosti sleziny o více než 40 % oproti výchozí velikosti (což zhruba odpovídá 25% zvětšení objemu sleziny) a zároveň již netrvá zjevné zlepšení klinických symptomů onemocnění*
- d) *v případě progresu onemocnění definované revidovanými kritérii mezinárodní pracovní skupiny pro výzkum a léčbu myeloproliferativních neoplázií (IWG-MRT) a evropské leukemické sítě (ELN).*