

SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS21028/2022, datum: 13. 5. 2022

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek JINARC (obsahující léčivou látku tolvaptan) je určený ke zpomalení progresu vzniku cyst a renální insuficience při polycystické chorobě ledvin autozomálně dominantního typu (PCHLAD) u dospělých pacientů s chronickým onemocněním ledvin, kdy je prokázána rychlá progresu onemocnění.

Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek JINARC představuje přidanou hodnotu u definované skupiny dospělých pacientů s polycystickou chorobou ledvin autozomálně dominantního typu (PCHLAD) s chronickým onemocněním ledvin (CKD 1 – 3 při zahájení léčby) oproti dostupné standardní terapii, kterou je v této indikaci pouze symptomatická léčba. **Ústav v obecné rovině nerozporuje robustnost žadatelem předložené klinické evidence léčivého přípravku JINARC.** Přípravek má potenciál zpomalit růst ledvinných cyst a progresi renální insuficience.

Přípravek však nesplňuje odborná kritéria navržená žadatelem pro označení jako vysoce inovativní léčivý přípravek (VILP). **Žadatel požaduje stanovení druhé dočasné úhrady stran kritéria „primární klinicky významný cíl v klinické studii prokázal, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě“.** S ohledem na dostupnou evidenci však nelze považovat primární cíl předložené klinické studie za klinicky významný.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat.

Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické aspekty zařazení přípravku JINARC do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální zahraniční (zejména evropské) doporučení pro použití tolvaptanu u pacientů s polycystickým onemocněním ledvin autozomálně dominantního typu.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku JINARC nebude v další fázi správního řízení stanovena úhrada a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění 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: SUKLS21028/2022

Léčivý přípravek/ potravina pro zvláštní lékařské účely a žadatel

Žadatel: Otsuka Pharmaceutical Netherlands B.V

Zástupce: Swixx Biopharma s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: tolvaptan, perorální podání

ATC: C03XA01

Léčivý přípravek: JINARC 15MG+45MG TBL NOB 56(28X15MG+28X45MG) I, kód SÚKL 0210426

JINARC 30MG+60MG TBL NOB 56(28X30MG+28X60MG) I, kód SÚKL 0210432

JINARC 30MG+90MG TBL NOB 56(28X30MG+28X90MG) I, kód SÚKL 0210429

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Otsuka Pharmaceutical Netherlands B.V

Posuzovaná indikace

Zpomalení progresy vzniku cyst a renální insuficience při polycystické chorobě ledvin autozomálně dominantního typu (PCHLAD) u dospělých pacientů s chronickým onemocněním ledvin (Chronic Kidney Disease – CKD), kdy je prokázána rychlá progresy onemocnění.

Stanovisko k žádosti

O klinickém přínosu LP JINARC svědčí výstupy randomizovaných, dvojitě zaslepených studií TEMPO 3:4 a REPRIZE, jakož i dlouhodobé sledování účinků tolvaptanu v rámci studie Edwards et al. 2018. Tyto podklady dokumentují příznivý efekt tolvaptanu na zpomalení progresy renální insuficience a naznačují tak potenciál tolvaptanu oddálení potřeby náhrady renálních funkcí.

Předložená studie TEMPO 3:4 však nemůže být brána jako doklad pro dostatečné odůvodnění přínosu léčby přípravkem JINARC stran žadatelem požadovaného kritéria „primární klinicky významný cíl v klinické studii prokázal, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo alespoň k 30% zlepšení oproti hrazené léčbě“, neboť primárně sledovaný parametr této klinické studie (změna objemu ledvin v čase) nelze s ohledem na aktualizovaná evropská doporučení pro použití tolvaptanu u pacientů s PCHLAD považovat za klinicky významný (nadále již není vhodným markerem pro určení rychlé progresy nemoci).

Ústav z tohoto důvodu navrhuje s odkazem na ustanovení § 51 odst. 3 správního řádu žádost zamítnout, jelikož žádosti žadatele (o stanovení druhé dočasné úhrady LP JINARC s přiznáním statutu vysoké inovativnosti) nelze vyhovět.

Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet není dle ustanovení § 39d odst. 3, zákona o veřejném zdravotním pojištění, v případě stanovení druhé dočasné úhrady vysoce inovativního léčivého přípravku vyžadováno.

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.

Maximální cena

Maximální cena nezměněna.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

120,0000 mg/den

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Úhrada nepřiznána.