

Žádost o schválení nového léčivého přípravku

Fm-L002-NOVYLEK-001

verze č. 4, str. 1/5

Pracoviště: Onkologická klinika

Žadatel (lékař):	jméno, příjmení	Mgr. Kateřina Holá, Ph.D.
	pracovní zařazení	Koordinátor klinických hodnocení
	telefon	58844 4295
	e-mail	katerina.hola@fnol.cz

Název léčivého přípravku: Tibsovo 250 mg

Forma Potahovaná tableta

Balení HDPE lahvička 60 tablet

Síla Jedna potahovaná tableta obsahuje 250mg
ivosidenibu,
užívají se 2 denně

Předpokládaná cena za balení v Kč vč. DPH:

Pro zjištění aktuální ceny kontaktujte lékárnu na kl. 4386

364 145,6 Kč

Předpokládaný počet pacientů v daném roce:

2

983 193 Kč na medián trvání léčby

Náklady na 1 pacienta a rok v cenách vč. DPH:

4 369 747 Kč na rok

Předpokládaná doba trvání léčby:

2,7 měsíce

(viz medián přežití bez progresu v klinických
podkladech)

Lék má ukončeny klinické studie fáze III.

ANO

Předpokládaný způsob úhrady (volbu označte křížkem ☐):

☐ byla stanovena úhrada zdr. pojišťovny

☒ mimořádná úhrada dle §16 zák.48/1997

☐ pacient samoplátce

☐ jiný:

Schválení žádosti přednostou dotčeného pracoviště:

Schválení není třeba, pokud je přednost zároveň žadatelem

Datum:

25.6.2024

Jméno, příjmení:

doc. MUDr. Hana Študentová, Ph.D.

Razítko, podpis

Doc. MUDr. Hana Študentová, Ph.D.
60792

Podrobný popis medicínského přínosu:

Relevantní dokumenty přiložte jako přílohu.

Léčivý přípravek **Tibsovo** je určen pro vysoce selektovanou skupinu pacientů s lokálně pokročilým nebo metastatickým cholangiokarcinomem (CCA), kteří mají zároveň mutaci IDH1 (Modrá kniha ČOS uvádí výskyt mutace IDH1/2 19%). CCA má velmi špatnou prognózu a minimální možnosti léčby.

Pacientům s CCA a mutací IDH1 léčivý přípravek **Tibsovo** (léčivá látka ivosidenib) téměř zdvojnásobuje celkové přežití bez progresu ve srovnání s placebem, protože je inhibitorem mutovaného enzymu IDH1. Mutantní IDH1 přeměňuje alfa-ketoglutarát (α -KG) na 2-hydroxyglutarát (2-HG), který blokuje buněčnou diferenciaci a podporuje tumorogenezi u hematologických i nehematologických malignit.

Schválená indikace dle SPC pro pacienty s cholangiokarcinomem: Monoterapie přípravkem Tibsovo je indikována k léčbě dospělých s lokálně pokročilým nebo metastazujícím cholangiokarcinomem s mutací IDH1 R132, kteří již byli léčeni alespoň jednou předchozí linií systémové terapie.

Primárním cílem bylo **přežití bez progresu (PFS)**, který při podávání **Tibsovo** činil **2,7 měsíců** (1,6-4,2, 95% CI), zatímco v případě podávání **placeba** **1,4 měsíce** (1,4-1,6, 95% CI), což reprezentovalo poměr rizik 0,37 (0,46-0,75 na 95% hladině spolehlivosti), riziko progresu při léčbě ivosidenibem bylo sníženo o 63 %. (Viz **Tibsovo_klinické_podklady_1**, III. klinická fáze studie ClarIDHy)

Celková doba přežití byla **10,3 měsíce** (7,8-12,4, 95% CI) u pacientů v rameni **Tibsovo** vs. **7,5 měsíce** (4,8-11,1, 95% CI) pro **placebo**. Riziko úmrtí bylo redukováno o 21 % (HR 0,79; 0,56-1,12; 95% CI p=0,09). (Viz **Tibsovo_klinické_podklady_2**)

Míra přežití bez progresu v rameni Tibsovo po 6 měsících byla 32% a po 12 měsících 21,9%. Žádný pacient randomizovaný k placebo nedosáhl PFS 6 měsíců nebo delšího. Pacienti léčení Tibsovo si v průběhu terapie zachovali kvalitu života srovnatelnou se stavem před léčbou.

Porovnání se stávajícími možnostmi léčby, možné alternativy:

Relevantní dokumenty přiložte jako přílohu.

Pro pacienty s cholangiokarcinomem a IDH1 mutací je Tibsovo jedinnou schválenou cílenou léčbou na základě robustních výsledků studie fáze III ClarIDHy - viz výše.

Jedná se i o léčbu doporučovanou mezinárodními i národními (Modrá kniha) guidelines pacienty s CCA a mutací IDH1. **Další možností léčby ve 2. linii je režim FOLFOX**, který je uveden jak v Modré knize ČOS, tak i v ESMO a NCCN doporučeních.

Terapie FOLFOX vykazuje jen omezenou účinnost (viz III. klinická fáze FOLFOX: Lancet Oncol 2021; 22: 690–701). **Medián celkové doby přežití** ve skupině s aktivní kontrolou příznaků **FOLFOX** byl **6,2 měsíce** (95% CI, 5,4–7,6).

Vyplní předseda lékové komise:

Vyjádření k žádosti:

☐ Schvaluji

☒ Neschvaluji (důvod)

Léková komise žádost neschvaluje z důvodů:

1. Přípravek je nákladově neefektivní.

2. Dle ESMO-MCBS Scorecards | ESMO má klinický přínos „2“,
přičemž za podstatný klinický přínos se považují stupně 4 a 5.

Datum:

11.7.2024

Jméno, příjmení:

Mgr. Robert Běhal

Razítko, podpis

48/103
FAKULTNÍ NEMOCNICE OLOMOUČ®
Zdravotníků 248/7, 779 00 Olomouc, tel. 588 442 540
Léková komise
Vedoucí lékárník: Mgr. Robert Běhal

Mgr. Robert Běhal
vedoucí lékárník

Hlasování členů Lékové komise FNOL:

Jméno, příjmení	Schvaluji	
doc. MUDr. Karel Urbánek, Ph.D.	☐ ANO	☒ NE
Mgr. Robert Běhal	☐ ANO	☒ NE
MUDr. Zdeněk Kojecský, Ph.D.	☒ ANO	☐ NE
doc. MUDr. Přemysl Falt, Ph.D., MHA	☐ ANO	☒ NE
MUDr. Antonín Hluší, Ph.D.	☒ ANO	☐ NE