



V Praze 26. ledna 2023

Č. j.: MZDR 25/2023-4/MIN/KAN



MZDRX01N1AHM

ZÁVAZNÉ STANOVISKO

Ministerstvo zdravotnictví jako správní orgán příslušný podle § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, v rozhodném znění (dále jen „zákon č. 48/1997 Sb.“ či „zákon o veřejném zdravotním pojištění“), v rámci správního řízení o stanovení výše a podmínek úhrady ze zdravotního pojištění přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění

Kód SÚKL	Název přípravku	Doplňek názvu
0238925	TREPULMIX	1MG/ML INF SOL 1X10ML
0238926	TREPULMIX	2,5MG/ML INF SOL 1X10ML
0238927	TREPULMIX	5MG/ML INF SOL 1X10ML
0238928	TREPULMIX	10MG/ML INF SOL 1X10ML

(dále též jen „LPVO či TREPULMIX“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS86076/2022

jehož účastníky jsou (včetně žadatele):

- **SciPharm Sarl**,
se sídlem Fausermillen 7, L-6689 Mertert, Lucemburské velkovévodství, ev. č.: B150938,
zastoupena: MUDr. Veronika Chicevišová, Franty Kocourka 4/2376, 150 00 Praha 5
(dále též jen „žadatel“)
- **Česká průmyslová zdravotní pojišťovna**,
se sídlem Jeremenkova 161/11, 70300 Ostrava – Vítkovice, IČO: 47672234
- **Oborová zdravotní pojišťovna zaměstnanců bank, pojišťoven a stavebnictví**,
se sídlem Roškotova 1225/1, 14000 Praha 4, IČO: 47114321
- **RBP, zdravotní pojišťovna**,
se sídlem Michálkovická 967/108, 71000 Slezská Ostrava, IČO: 47673036

▪ **Vojenská zdravotní pojišťovna České republiky,**
se sídlem Drahobejlova 1404/4, 19000 Praha 9, IČO: 47114975

▪ **Zaměstnanecká pojišťovna Škoda,**
se sídlem Husova 302, 293 01 Mladá Boleslav, IČO: 46354182

▪ **Zdravotní pojišťovna ministerstva vnitra České republiky,**
se sídlem Vinohradská 2577/178, 130 00 Praha 3, IČO: 47114304

všichni výše uvedení společně zastoupeni Svazem zdravotních pojišťoven ČR, z.s.,
Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 13000 Praha Žižkov
(všichni výše uvedení dále společně též jako „Svaz zdravotních pojišťoven“ či „SVAZ“)

▪ **Všeobecná zdravotní pojišťovna České republiky,**
se sídlem Orlická 4/2020, 130 00 Praha 3, IČO: 41197518 (dále též jen „VZP“)

▪ **Sdružení pacientů s plicní hypertenzí z.s.**
se sídlem Bělehradská 7/13, Nusle, 140 00 Praha 4, IČO: 27001822 (dále též jen
„patientská organizace“)

▪ **Česká kardiologická společnost, z.s.,**
se sídlem Netroufalky 814/6b, Bohunice, 625 00 Brno, IČO: 60166789 (dále též jen
„odborná společnost“)

vydává v souladu s § 39da odst. 6 písm. a) zákona č. 48/1997 Sb. toto

závazné stanovisko:

Ministerstvo zdravotnictví souhlasí se stanovením úhrady léčivého přípravku pro vzácná onemocnění TREPULMIX z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek uvedených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. SUKL210863/2022 ze dne 28. 12. 2022.

Odůvodnění:

Dne 28. 12. 2022 postoupil Ústav Ministerstvu zdravotnictví (dále jen „ministerstvo“) v souladu s § 39da odst. 5 zákona č. 48/1997 Sb. hodnotící zprávu vydanou v řízení o stanovení výše a podmínek úhrady léčivého přípravku určeného k léčbě vzácných

onemocnění **sp. zn. SUKLS86076/2022** spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na **23. 1. 2023** ústní jednání poradního orgánu pro úhradu léčiv určených k léčbě vzácných onemocnění (dále jen „poradní orgán“) za účelem vytvoření odůvodněného podkladu pro závazné stanovisko ministerstva a posouzení veřejného zájmu podle § 17 odst. 2 zákona č. 48/1997 Sb. na stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady léčivého přípravku určeného pro léčbu vzácných onemocnění.

Poradní orgán posoudil žádost o stanovení úhrady LPVO, hodnotící zprávu vypracovanou Ústavem a také u LPVO v souladu s § 39da odst. 3 posoudil následující kritéria:

- a) jeho terapeutická účinnost a bezpečnost,
- b) závažnost onemocnění, k jehož léčbě je určen,
- c) jeho nahraditelnost jinými léčebnými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění,
- d) celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění, k jehož léčbě je určen, a dopady léčby na systém zdravotního pojištění a sociálního zabezpečení,
- e) jeho prokazatelný přínos na zlepšení kvality života pacienta,
- f) reálné možnosti pro zajištění poskytování úspěšné a efektivní léčby v síti poskytovatelů zdravotních služeb,
- g) doporučené postupy odborných institucí a příslušných odborných společností,
- h) podmínky jeho úhrady z prostředků zdravotního pojištění navržené v žádosti, včetně případných smluv uzavřených držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami omezujících dopad na prostředky zdravotního pojištění nebo upravujících sdílení rizik souvisejících s účinností tohoto léčivého přípravku v podmínkách klinické praxe,
- i) analýza nákladové efektivity, avšak bez zohlednění jejího výsledku v podobě poměru inkrementálních nákladů a přínosů, a
- j) předpokládaný dopad do rozpočtu zohledňující veřejný zájem podle § 17 odst. 2.

Z hodnotící zprávy a odůvodněného podkladu poradního orgánu pro vydání závazného stanoviska ministerstva vyplynulo následující.

LPVO TREPULMIX obsahuje léčivou látku treprostinil a dle SmPC je indikován k léčbě dospělých pacientů s funkční třídou NYHA III nebo IV dle klasifikace WHO s inoperabilní chronickou tromboembolickou plicní hypertenzí (CTEPH) nebo perzistentní či rekurentní CTEPH po chirurgické léčbě.

Předmětem žádosti je stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady dospělých pacientů s chronickou tromboembolickou plicní hypertenzí (CTEPH):

- ve funkční třídě NYHA III s inoperabilní CTEPH, reziduální nebo rekurentní CTEPH po plicní endarterektomii a/nebo po balónkové plicní angioplastice (potvrzenou na pracovišti se zkušeností s komplexní diagnostikou a léčbou CTEPH pro zlepšení funkční zdatnosti), u kterých nedošlo při léčbě ricicqvátem ke klinickému zlepšení,

- ve funkční třídě NYHA IV s inoperabilní CTEPH, reziduální nebo rekurentní CTEPH po plicní endarterektomii a/nebo po balónkové plicní angioplastice (potvrzenou na pracovišti se zkušeností s komplexní diagnostikou a léčbou CTEPH pro zlepšení funkční zdatnosti).

Žadatelem navržená indikace je užší specifikací registrované indikace dle SmPC posuzovaného léčivého přípravku.

CTEPH je vzácná život ohrožující forma plicní hypertenze (PH). Jedná se o chronickou komplikaci akutní plicní embolie u nemocných, u nichž nedojde i přes trombolytickou a/nebo antikoagulační léčbu k rozpuštění embolizovaných trombotických hmot. Důsledkem je vzestup plicní cévní rezistence vedoucí k zatížení pravé komory srdeční a k pravostrannému srdečnímu selhání.

CTEPH je progresivní invalidizující život zkracující onemocnění, které má zásadní vliv na snížení kvality života i na zkrácení délky života. Prognóza neléčené symptomatické CTEPH je velmi závažná. Výše plicní hypertenze je klíčový indikátor prognózy bez ohledu na počet epizod plicní embolie, lokalizaci obstrukce a věk. Pravděpodobnost dvouletého přežití u pacientů se středním tlakem v plicnici nad 50 mmHg je méně než 20 %.

Studie u pacientů s CTEPH nebo u smíšené populace (CTEPH a PAH), v nichž byla hodnocena kvalita života, naznačují, že pacienti s PH mají kvalitu života oproti běžné populaci podstatně sníženou. Pacienti s PH musí zvládat jak fyzickou zátěž onemocnění, nejasnou prognózu, tak vysoké náklady na léčbu, nezaměstnanost, finanční nejistoty a dopad na sociální vztahy. V důsledku toho se u nich objevují psychické poruchy, např. deprese a úzkost, které mohou následně významně ovlivnit jejich kvalitu života.

PAH jako taková představuje závažnou zátěž pacientů, ovlivňující všechny aspekty kvality každodenního života včetně obecného zdraví a vitality, fyzické aktivity, emoční a sociální. Míra ovlivnění kvality života je přinejmenším stejně závažné či významnější než u jiných chronických onemocnění (CHOPN, selhání ledvin) a jsou vysilující a život ohrožující (při použití generického dotazníku, např. SF-36).

Pacienti s PH trpí dušností, únavou a ztrátou energie, což jim ztěžuje až znemožňuje vykonávat běžné denní úkony včetně domácích prací. Choroba má významný vliv nejen na samotné nemocné, ale i na jejich příbuzné a pečovatele.

Léčba CTEPH je koncentrována do centra ve Všeobecné fakultní nemocnici v Praze. S ohledem na zajištění péče poradní orgán nepředpokládá rychlé rozšíření center specializovaných na CTPH. Poradní orgán souhlasí s doporučením, aby LPVO byl vázán vždy na Centra vysoce specializované péče.

Ústav v souladu s § 39b odst. 10 písm. a) a c) zákona o veřejném zdravotním pojištění a § 34 odst. 1 a 2 a § 39 vyhlášky č. 376/2011 Sb. navrhl stanovit tyto podmínky úhrady:

S

P: Přípravek je hrazen u dospělých nemocných ve funkční třídě NYHA III s inoperabilní CTEPH, reziduální nebo rekurentní CTEPH po plicní endarterektomii a/nebo po balónkové plicní angioplastice (potvrzenou na pracovišti se zkušeností s komplexní diagnostikou a léčbou CTEPH pro zlepšení funkční zdatnosti), u kterých nedošlo při léčbě riocigvátem ke klinickému zlepšení.

Přípravek je hrazen u dospělých nemocných ve funkční třídě NYHA IV s inoperabilní CTEPH, reziduální nebo rekurentní CTEPH po plicní endarterektomii a/nebo po balónkové plicní angioplastice (potvrzenou na pracovišti se zkušeností s komplexní diagnostikou a léčbou CTEPH pro zlepšení funkční zdatnosti).

Léčba bude ukončena, pokud dojde k refrakternímu zhoršení funkční třídy podle NYHA a nemocný nebude kandidátem na transplantaci plic. Za refrakterní se považuje přetrvávání zhoršení ve dvou po sobě následujících reevaluačních kontrolách, které probíhají po 4-6 měsících léčby.

Preskripční omezení (vykazovací limit):

Podmínka úhrady "S" definuje dle § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. přípravky, jejichž použití je s ohledem na veřejný zájem účelné koncentrovat do vybraných zdravotnických zařízení zaručujících jejich hospodárné užití na nejvyšší odborné úrovni („specializovaná pracoviště“). Symbol S stanovuje, že předmětné léčivé přípravky budou účtovány jako zvlášť účtované léčivé přípravky (ZÚLP), podané na specializovaném pracovišti, které má zvláštní smlouvu se zdravotní pojišťovnou. Vzhledem na charakter a závažnost indikací, pro které budou předmětné přípravky používány, je nezbytná aplikace na specializovaných pracovištích. Tímto je zajištěna racionální preskripce posuzovaných léčivých přípravků.

Ústav akceptoval návrh žadatele k podmínkám úhrady, avšak upozornil na limitace klinické evidence pro žadatelem požadovanou skupinu pacientů.

Ústav konstatuje, že byly předloženy smlouvy uzavřené mezi žadatelem a zdravotními pojišťovnami omezující dopad na prostředky zdravotního pojištění.

Po metodické stránce předložené analýzy dopadu na rozpočet vyhovují standardům Ústavu, resp. metodice SP-CAU-27.

Dopad na rozpočet bude pro LP TREPULMIX představovat 15,8 až 55,5 mil. Kč v prvním až pátém roce při odhadovaném počtu 8-40 léčených pacientů v prvních pěti letech. Náklady na terapii jednoho pacienta se v čase snižují a činí zhruba 2 miliony až 800 tisíc Kč ročně. Vládní a celospolečenská perspektiva dopadu i přes výzvu nebyly předloženy, avšak jejich výsledky by se patrně od základního scénáře významně nelišily. Tento výsledek nezohledňuje uzavřené finanční ujednání.

Po posouzení předložených podkladů a následné rozpravě poradní orgán dospěl k následujícím závěrům.

Po projednání případu poradní orgán jednomyslně doporučil ministerstvu vyslovit souhlas se stanovením úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění ve výši a za podmínek uvedených v doplněné hodnotící zprávě ze dne 28. 12. 2022.

S doporučením poradního orgánu se ministerstvo ztotožňuje, a proto přikročilo k vydání tohoto závazného stanoviska podle § 39da odst. 6 písm. a) zákona č. 48/1997 Sb.

Poučení:

Proti tomuto závaznému stanovisku lze brojit v rámci odvolání proti meritornímu rozhodnutí Ústavu. O potvrzení nebo změně závazného stanoviska rozhoduje ministr zdravotnictví jakožto nadřízený správní orgán ministerstva zdravotnictví. Nezákonné závazné stanovisko lze podle § 149 odst. 6 správního řádu zrušit nebo změnit v přezkumném řízení.



prof. MUDr. Vlastimil Válek, CSc., MBA, EBIR
místopředseda vlády a ministr zdravotnictví

Doložka z automatizované konverze dokumentu do elektronické podoby – z moci úřední

Dokument MZDR 25/2023-4/MIN/KAN vznikl převedením listinného dokumentu do elektronického dokumentu pod pořadovým číslem **1400378-000-230126093543**. Vzniklý dokument obsahem odpovídá vstupnímu dokumentu. Počet stran dokumentu: **6**

Vstup neobsahoval viditelný prvek, který nelze plně přenést na výstup.

Konverzi provedl subjekt: Ministerstvo zdravotnictví, IČ: 00024341

Datum vyhotovení: **26.01.2023**

Poznámka:

Konverzí dokumentu se nepotvrzuje správnost a pravdivost údajů obsažených v dokumentu a jejich soulad s právními předpisy. Kontrolu doložky lze provést v centrální evidenci doložek na adrese <https://www.czechpoint.cz/overovacidolozky>.



1400378-000-230126093543