



V Praze 16. května 2023

Č. j.: MZDR 10600/2023-9/MIN/KAN



MZDRX01O5LR6

## 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“), vydává v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997 Sb. a ve spojení s § 149 zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, v rozhodném znění (dále jen „správní řád“), v rámci správního řízení o stanovení výše a podmínek úhrady ze zdravotního pojištění přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění

ATC	Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu
M05BX07	0255192	VOXZOGO	0,4MG INJ PSO LQF 10+10X05ML ISP+10J
M05BX07	0255193	VOXZOGO	0,56MG INJ PSO LQF 10+10X05ML ISP+10J
M05BX07	0255194	VOXZOGO	1,2MG INJ PSO LQF 10+10X0,5ML ISP+10J

(dále jen „LPVO VOXZOGO“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS229753/2022,

jehož účastníky jsou:

**Česká průmyslová zdravotní pojišťovna,**  
se sídlem Jeremenkova 161/11, 703 00 Ostrava, IČO: 47672234

**Oborová zdravotní pojišťovna zaměstnanců bank, pojišťoven a stavebnictví,**  
se sídlem Roškotova 1225/1, 140 00 Praha 4, IČO: 47114321

**RBP, zdravotní pojišťovna,**  
se sídlem Michálkovická 967/108, 710 00 Ostrava, IČO: 47673036

**Vojenská zdravotní pojišťovna České republiky,**  
se sídlem Drahobejlova 1404/4, 190 00 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: Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.,  
se sídlem náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3, IČO: 638 30 515  
(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“ nebo „žadatel“)

**BioMarin International Limited**  
se sídlem 6th Floor, 2 Grand Canal Square, Dublin, Irsko, IČO: 500060  
zastoupena: **Tatarková Marta**, se sídlem Kresankova 8, 841 04 Bratislava, Slovenská republika

**Česká lékařská společnost J. E. Purkyně, z.s.,**  
Česká pediatriká společnost, Společnost lékařské genetiky a genomiky, Společnost dětské neurologie, Ortopedicko-protetická společnost, společnost pro metabolická onemocnění skeletu, Česká neurologická společnost, Česká společnost otorinolaryngologie a chirurgie hlavy a krku, Společnost pro rehabilitační a fyzikální medicínu, se sídlem Sokolská 490/31, 120 00 Praha 2, IČO: 00444359 (dále též jen „ČLS JEP“)

**Česká asociace pro vzácná onemocnění z.s.,**  
Bělohorská 269/19, 169 00 Praha 6 Břevnov, IČO: 22748270 (dále též jen „ČAVO“)

**závazné stanovisko:**

**Podle § 39da odst. 6 písm. b) zákona č. 48/1997 Sb. Ministerstvo zdravotnictví navrhuje stanovit úhradu LPVO VOXZOGO za stejných podmínek, ale v jiné výši, než je uvedeno v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. suk182265/2022 ze dne 31. 3. 2023.**

Výši úhrady LPVO VOXZOGO Ministerstvo zdravotnictví navrhuje stanovit ve výši  
**88 869,10 Kč.**

Podmínky úhrady LPVO VOXZOGO Ministerstvo zdravotnictví navrhuje ponechat tak, jak byly uvedeny v upravené hodnotící zprávě Ústavu, a to následovně:

## **S**

**P:** Vosoritid je hrazen v léčbě achondroplazie u pacientů starších 2 let, jejichž epifýzy nejsou zavřené.

Léčba vosoritidem je zahájena v případě, že jsou splněny následující kritéria:

- Diagnóza achondroplazie je potvrzená molekulárně geneticky
- Pokračující růst (růstové tempo větší než 2 cm/předchozí rok)
- Nepřítomnost dalšího onemocnění ovlivňujícího růst
- Absence menarche u dívek
- Kostní věk menší než 11 let u dívek a menší než 13 let u chlapců (hodnocení dle TW3 RUS)

Pacienti mají být pravidelně sledováni a vyšetřováni nejpozději každých 6 měsíců, kdy má být kontrolována jejich tělesná hmotnost, růst a tělesný vývoj.

Léčba vosoritidem je ukončena v případě

- závažných nežádoucích účinků léčby
- ukončeného růstu (tj. růstová rychlost nižší než 2 cm/rok),
- nedostatečné účinnosti léčby (tj. růstové tempo přesahující střední růstovou rychlost pro daný věk, pohlaví a diagnózu achondroplazie o méně než 1,5 cm/rok za 15 měsíců po zahájení terapie nebo růstové tempo nižší než střední růstová rychlost pro daný věk pacientů s achondroplazií v dalších letech terapie).

## **Odůvodnění:**

Dne 31. 3. 2023 postoupil Ústav Ministerstvu zdravotnictví (dále jen „ministerstvo“) v souladu s § 39da odst. 5 zákona č. 48/1997 Sb. upravenou hodnotící zprávou vydanou v řízení o stanovení výše a podmínek úhrady léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění vedeném pod sp. zn. SUKLS229753/2022 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na 20. 4. 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 v rámci ústního jednání posoudil žádost o stanovení úhrady léčivého přípravku pro vzácná onemocnění (dále jen „LPVO“), hodnotící zprávu vypracovanou Ústavem a také u LPVO v souladu s § 39da odst. 3 zákona č. 48/1997 Sb. posoudil následující kritéria:

- a) jeho terapeutickou 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) analýzu 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.

LVPO VOXZOGO (obsahující léčivou látku vosoritid) je dle SmPC indikován k léčbě achondroplazie u pacientů starších 2 let, jejichž epifyzy nejsou uzavřené.

Dosavadní klinický program zahrnuje dvě randomizované klinické studie, kde se přípravek srovnává s placebem a prokazuje vyšší účinnost než neléčba. Tyto dvě studie sloužily pro registrační proceduru u EMA (datum registrace 26. 8. 2021) pro prokázání pozitivního poměru riziko/benefit. Denní subkutánní podávání vosoritidu dětem s achondroplazií vedlo ke statisticky významnému zvýšení rychlosti růstu. Dlouhodobé údaje o účinnosti léčby v délce 5 let jsou v současné době omezeny na 26 pacientů ze studie 111-205: přírůstek ve výšce jedinice odpovídal přibližně pětinasobku přírůstku výšky pozorovaného v klíčové studii 111-301 za období 1 roku. Na základě toho se předpokládá, že pozitivní účinek na růst u vosoritidu má potenciál se udržet dlouhodobě. Předpoklad zatím není potvrzen daty z klinické praxe.

Achondroplazie je život zkracující vzácné onemocnění typu skeletální dysplazie. Onemocnění zahrnuje zvýšenou úmrtnost u dospělých pacientů (některé studie uvádějí dokonce zvýšenou úmrtnost v dětství) s odhadovaným průměrným zkrácením délky života o 10 let, přičemž hlavními příčinami úmrtí jsou srdeční onemocnění, neurologické komplikace a nehody.

Onemocnění je charakterizováno disproporčně krátkou postavou (v dospělosti průměrně 124 cm u žen, 132 cm u mužů), makrocefálií, prominujícím čelem a midfaciální hypoplazií s možnými komplikacemi (stenóza foramen magnum – asociována s vysokou mortalitou (2–5 %), typickými příznaky jsou spánková apnoe, bronchopatie, problémy s polykáním či hydrocefalus; thorakolumbární kyfózy – přítomná hlavně u dětí, s rostoucím věkem (v pozdějším dětství) dochází většinou ke zlepšení; poruchy sluchu – přibližně 50 % dětí

vyžaduje tympanostomii, bez léčby může vyústit až k převodní nedoslýchavosti; lumbární spinální stenózy (projevuje se diskomfortem při stání a ztíženou chůzí na větší vzdálenosti).

Největší zdravotní problém osob s achondroplazií představuje především malá výška, zakřivené končetiny a časté bolesti (zejména kloubů, zad, páteře). Současné terapie jsou nedostatečné a jsou spojovány s výraznou bolestí.

V ČR jsou každoročně diagnostikováni v průměru 4 pacienti s achondroplazií, aktuálně je vosoritidem léčeno 38 dětí.

Léčebné možnosti achondroplazie se omezují na výjimečně prováděné chirurgické ortopedické intervence (prodlužování dlouhých kostí dolních končetin), což je považováno za metodu vysoce rizikovou a zastaralou, a dále zejména podpůrnou léčbu, která je mnohostranná a vyžaduje zapojení více odborností v průběhu celého života pacienta.

Vosoritid představuje první kauzální terapii v indikaci achondroplazie, jiná kauzální terapie achondroplazie charakteru vosoritidu neexistuje. Relevantním komparátorem pro vosoritid v léčbě achondroplazie u pacientů starších 2 let, jejichž epifýzy nejsou uzavřené, je tudíž observace, popř. nejlepší podpůrná péče (BSC).

Achondroplazie je celoživotní onemocnění, které vyžaduje celoživotní léčbu zkušeným multidisciplinárním týmem vedeným lékaři/klinickými pracovníky se zkušenostmi s léčbou achondroplazie. Pečlivé sledování během prvních dvou let života je zásadní, komplexní péče je nezbytná až do dospělosti. Komplexní péče o pacienty s achondroplazií je velmi náročná a zároveň nákladná.

Dle interní evidence Všeobecné zdravotní pojišťovny ČR (dále jen „VZP“) byla v průběhu období let 2017 až první poloviny roku 2022 v souvislosti s diagnózou achondroplazie vykázána následující zdravotní péče: biochemické vyšetření, ortopedické vyšetření, RTG vyšetření, neurologické vyšetření, auxologické vyšetření, DNA testování a fyzioterapeutické výkony.

Z celkového počtu 174 pacientů se 79 narodilo v období 2007-2020, přičemž průměrný věk je 16,4 let. Průměrný náklad na 1 pacienta za 1 rok činil dle VZP v letech za výše zmíněné výkony v předmětném období 171 397 Kč.

Děti s achondroplazií potřebují větší péči a pomoc od raného věku, jak ze zdravotního hlediska (pravidelné rehabilitační cvičení a protahování svalstva, pravidelná kontrolní vyšetření), tak z hlediska péče (významná pomoc pečujících osob v běžných činnostech: oblékání, hygiena, pohyb).

Dospělé osoby s achondroplazií mají z fyzických důvodů nižší uplatnění na trhu práce (nutná úprava pracovních podmínek, neschopnost vykonávat fyzicky náročné činnosti), bývají zaměstnáni pouze na zkrácený úvazek nebo jsou nezaměstnaní. Pacienti jsou příjemci invalidního důchodu I. stupně až III. stupně. Život osob s tímto zdravotním postižením je nákladný, protože zahrnuje náklady na samotnou dopravu (z důvodu častých návštěv zdravotnických zařízení), zdravotní pomůcky a jiné asistenční služby.

Dle hodnotící zprávy Ústavu díky léčbě LP VOXZOGO budou lidé s achondroplazií dosahovat mnohem vyšší výšky a budou moci být více soběstační, což povede k vyššímu uplatnění ve společnosti a na trhu práce. V konkrétních rodinách nebude nutné již v takové míře pobírat například příspěvek na péči a oba rodiče se budou moci mnohem více zapojit do pracovního procesu. Dá se očekávat, že pacienti, kterým bude podáván vosoritid, budou

v menší míře uplatňovat nárok na invalidní důchod, jelikož jejich pracovní schopnost nebude snížena. Léčba vosoritidem umožní pacientům s achondroplazií zařadit se do běžného života, zvýšit jejich uplatnění na trhu práce, což bude znamenat nižší celkové zatížení specializovaných zdravotnických zařízení, které osoby s achondroplazií velmi často navštěvují, a vyšší míru ekonomické soběstačnosti.

Dopad na systém sociálního zabezpečení lze do budoucna odhadovat jako významný.

Dle Společného stanoviska VZP a České pediatrické společnosti 2022 je v rozsahu předpokládaném v tomto odborném stanovisku odhadovaný počet pacientů indikovaných k léčbě vosoritidem v indikaci achondroplazie cca 36 pacientů pojištěných u VZP, tj. 60 pacientů na celý systém. Ročně bude přibývat odhadem 2–5 nových pacientů, kteří budou indikováni pro léčbu vosoritidem.

V podkladové studii 111-301 byla sledována kvalita života, a to pomocí dotazníkových šetření na škálách PedsQL, QoLISSY, WeeFIM. Vzhledem k délce podkladové studie (52 týdnů) nebyly v kvalitě života pozorovány žádné klinicky významné rozdíly ve změně oproti výchozímu stavu mezi skupinami léčenými vosoritidem a placebem. Při využití hodnocení z přirozené historie dětí s achondroplazií však byl zaznamenán trend zhoršování celkového zdravotního stavu, fyzických schopností a růstu a vývoje osob s achondroplazií: děti vyžadují větší pomoc pečovatele zejména při sebeobsluze a mobilitě, a to po delší dobu než typicky vyvíjející se děti bez achondroplazie. Obecně je uváděno, že děti s achondroplazií mají nižší kvalitu života než referenční skupiny s průměrným vzrůstem. Achondroplazie je často spojena se sníženou kvalitou života v důsledku funkčních poruch a psychosociálních problémů a u některých jedinců je toto onemocnění spojeno se sníženou očekávanou délkou života. Jedinci s achondroplazií mají kognitivní a emoční funkce obvykle v normálním rozmezí, vyžadují však větší pomoc pečovatele (zejména asistence při sebeobsluze a mobilitě) po delší dobu než typicky vyvíjející se děti bez achondroplazie.

Dle vyjádření patientské organizace ČAVO pacienti s achondroplazií trpí zhoršenou kvalitou života související se zdravím, se sníženým skóre fyzického a duševního zdraví. Mají zpravidla nižší úroveň vzdělání a pracovní aktivity. Léčba posuzovaným LP VOXZOGO způsobuje významné zvýšení růstu jedince s achondroplazií, tím zlepšuje celkovou stabilitu těla, narovnaní pokrivených končetin, snížení potíží a bolestí spojených s chůzí a bolestí páteře. Celkově lepší zdravotní stav při léčbě vosoritidem vede ke značnému snížení návštěv odborných zdravotnických pracovníků ve zdravotnických zařízeních. Lze pozorovat velké zlepšení i psychického stavu. Vosoritid účinkuje i na typické rysy v obličeji, patrné na první pohled, částečně je eliminuje.

Koncentrace léčby posuzovaným LP VOXZOGO náleží do specializovaných center pro léčbu achondroplazie, v ČR jde o 2 kliniky v Praze (VFN a FN Motol). Na terapii pacientů s achondroplazií se nejčastěji podílí lékaři se specializací v oboru: pediatrie, ortopedie, dětská neurologie, radiodiagnostika, lékařská genetika, ARO a intenzivní péče, a rehabilitační a fyzikální medicína.

Pro terapii onemocnění neexistují české, ani zahraniční doporučené postupy, v nichž by terapie vosoritidem byla uvedena.

Evropské fórum pro achondroplazii (EAF) 2020 vypracovalo konsensus o hlavních zásadách léčby achondroplazie, který má poskytnout základ pro rozvoj optimální péče v Evropě. Zásady se soustředí na celoživotní léčbu achondroplazie zkušeným multidisciplinárním týmem s cílem předvídat a zvládat komplikace, podporovat nezávislost a zlepšovat kvalitu

života. Důraz je kladen na včasné odeslání k lékaři se zkušenostmi s léčbou achondroplazie při podezření na onemocnění, sdílené rozhodování, cíle léčby, přístup k adaptačním opatřením umožňujícím osobám s achondroplazií přístup do jejich prostředí a důležitost průběžného sledování během dospívání a dospělosti.

Ústav navrhl stanovit předmětným LP VOXZOGO podmínky úhrady v souladu se Společným stanoviskem VZP ČR a České pediatrické společnosti ČLS JEP z roku 2022 a upravil je dle odborných výhrad České pediatrické společnosti ČLS JEP a údajů z SmPC LP VOXZOGO.

V průběhu správního řízení nebyla Ústavu žádným z účastníků řízení předložena analýza nákladové efektivity. Ústav tedy nemohl řádně zhodnotit nákladovou efektivitu LP VOXZOGO v indikaci terapie achondroplazie.

V průběhu správního řízení nebyla žádným z účastníků řízení Ústavu předložena komplexní analýza dopadu do rozpočtu. Ústav proto na základě odborných podkladů shromážděných v průběhu předmětného správního řízení přistoupil k vlastní analýze dopadu na rozpočet.

Dopad na rozpočet bude dle odhadu Ústavu pro LP VOXZOGO představovat 262,3 až 400,3 milionů Kč v prvním až pátém roce při odhadovaném počtu 38 až 58 léčených pacientů v prvních pěti letech. Roční náklady na LP VOXZOGO na jednoho pacienta představují 6 902 029 Kč.

Vládní a celospolečenská perspektiva dopadu na rozpočet rovněž nebyly předloženy. Ústav nedisponuje dostatečnými odbornými podklady pro jejich vypracování. Vzhledem k charakteru onemocnění a jeho celospolečenskému významu lze očekávat, že dopad na rozpočet z těchto perspektiv by se lišil od perspektivy plátce.

Po projednání případu poradní orgán většinou hlasů doporučil ministerstvu stanovit úhradu LPVO VOXZOGO **v jiné výši**, než jaká byla navržena Ústavem v upravené hodnotící zprávě, avšak za stejných podmínek, jaké uvádí upravená hodnotící zpráva Ústavu.

**Poradní orgán doporučil stanovit výši úhrady dle průměrné výše úhrady, která je v posledních šesti měsících hrazena zdravotními pojišťovnami podle § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění, pokud by byla taková částka za úhradu nižší než úhrada navržena Ústavem v upravené hodnotící zprávě, a to za indikačních kritérií navržených Ústavem. Pro účely stanovení výše úhrady poradní orgán ministerstvu doporučil vyžádat si přesné informace (uhrazené částky), neboť tyto nebyly členům poradního orgánu během ústního projednání k dispozici.**

Po seznámení se s doporučením poradního orgánu a všemi okolnostmi projednávaného případu se ministerstvo rozhodlo postupovat dle § 39da odst. 6 písm. b) zákona č. 48/1997 Sb., tedy navrhnout stanovení úhrady v jiné výši, než jaká byla uvedena v upravené hodnotící zprávě Ústavu, avšak za Ústavem navržených podmínek. Ministerstvo přitom vychází zejména z následujících skutečností.

LPVO VOXVOGO prokázal pozitivní účinek na růst dětských pacientů s achondroplazií, který dosud nebyl k dispozici. Není sice aktuálně možné dostatečně potvrdit zlepšení všech typických dlouhodobých potíží pacientů s achondroplazií, ale je velmi pravděpodobné, že pokud v budoucnu dojde k dostatečnému přírůstku výšky těchto pacientů, budou jejich celkové potíže přinejmenším sníženy. Všechny tyto okolnosti převažují nad nemožností získat již dnes potvrzení předpokladu tohoto dlouhodobého vývoje.

Náklady na léčbu jednoho pacienta, které byly v doplněné HZ Ústavu stanoveny na 6-7 mil. ročně jsou mimořádné, s tím, že dle hodnocení je možné podávat léčbu 10 až 15 let, což je při aktuálním neprokázání potřebného účinku velmi dlouhý časový horizont.

Vzhledem k faktu, že žadatel nebyl schopen předložit informace o objemu úhrad, které nyní hradí za farmakologickou léčbu achondroplazie LPVO VOXZOGO, a rovněž nebyly ze strany žadatele ani držitele rozhodnutí o registraci doloženy farmakoeconomické analýzy, jakož ani analýzy z celospolečenské a vládní perspektivy, byť o ně Ústav žádal, požádalo ministerstvo v návaznosti na doporučení poradního orgánu o informace o průměrné výši reálné částky, kterou zdravotní pojišťovny uhradily za LPVO VOXZOGO na základě individuálních žádostí dle § 16 zákona č. 48/1997 Sb. za posledních šest měsíců. Bohužel na výzvu o sdělení průměrných nákladů obdrželo ministerstvo údaje o nákladech pouze od části zdravotních pojišťoven a tyto se vztahovaly pouze k menšině pojištěnců v systému veřejného zdravotního pojištění. Je skutečností, že držitel rozhodnutí o registraci nereagoval na výzvu Ústavu k součinnosti, zůstává v průběhu řízení o stanovení výše a podmínek úhrady LPVO VOXZOGO nečinný a nijak tak nepřispívá k objasnění skutkového stavu věci.

Z výše uvedených důvodů si ministerstvo, za účelem zjištění co nejobektivnějších dat o reálné ceně LPVO v poslední době, zjistilo z veřejně dostupného [Registru smluv](#) údaje o částkách, za které byl LPVO VOXZOGO dodáván poskytovatelům zdravotních služeb od počátku roku 2023 do května 2023 (LPVO VOXZOGO je aktuálně používán ve Všeobecné fakultní nemocnici v Praze a Fakultní nemocnici Motol). Z takto získaných údajů ministerstvo dospělo k závěru, že LPVO VOXZOGO byl jednotlivým poskytovatelům zdravotních služeb ve sledovaném období dodáván za v podstatě konstantní částky. Ministerstvo, s ohledem na nestandardní situaci v daném řízení, zvolilo pro stanovení úhrady částku, která ve zjištěném rozmezí odpovídala nejvyšší dodací ceně, a v této výši navrhuje stanovit LPVO VOXZOGO úhradu postupem dle § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Ministerstvo si je vědomo faktu, že takto vypočítaná a navržená částka je nižší než částka, k níž dospěl ve své upravené hodnotící zprávě Ústav, nicméně má za to, že tato částka fakticky odráží současné reálné ceny LPVO na českém trhu, a lze důvodně předpokládat, že při stanovení úhrady v této výši bude přípravek nadále dostupný pro pacienty v České republice.

S vědomím velmi specifické situace v řízení o stanovení výše a podmínek úhrady LPVO VOXZOGO je navržena výše úhrady s ohledem na současné reálné náklady na LPVO, a to z důvodu snahy o zachování rovnováhy mezi oprávněnými zájmy pacientů trpících achondroplazií na odpovídající léčbu, a veřejným zájmem na zajištění stability systému veřejného zdravotního pojištění, jehož posouzení však bohužel vzhledem k chybějícím podkladům bylo omezené.

Ministerstvo proto navrhuje stanovení výše úhrady LP VOXZOGO ve výši, která je uvedena ve výrokové části tohoto závazného stanoviska.

Po vydání tohoto závazného stanoviska a postoupení věci zpět bude žadatel v souladu s § 39da odst. 7 zákona č. 48/1997 Sb. vyzván Ústavem k vyjádření, zda s ministerstvem navrhovanou výší úhrady LPVO VOXZOGO souhlasí. Pokud žadatel s podmínkami navrhovanými závazným stanoviskem souhlasit nebude, Ústav úhradu z prostředků zdravotního pojištění nepřizná.



## Poučení:

Závazné stanovisko vydané dle § 149 odst. 1 správního řádu není rozhodnutím a nelze se proti němu odvolat. Obsah závazného stanoviska lze napadnout v rámci odvolání proti rozhodnutí vydanému ve věci samé.



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

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

Dokument Závazné stanovisko LPVO VOXZOGO vznikl převedením listinného dokumentu do elektronického dokumentu pod pořadovým číslem **1986472-000-230516104726**. Vzniklý dokument obsahem odpovídá vstupnímu dokumentu. Počet stran dokumentu: **9**

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

Konverzi provedl subjekt: Ministerstvo zdravotnictví, IČ: 00024341

Datum vyhotovení: **16.05.2023**

---

### 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>.*



1986472-000-230516104726