



MINISTERSTVO ZDRAVOTNICTVÍ
Palackého náměstí 375/4, 128 00 Praha 2

V Praze, dne (datum uvedeno v doložce e-podpisu)

Č. j.: MZDR 28355/2024-5/MIN/KAN



MZDRX01U1WU8

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

ATC	Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
N07XX18	0268190	AMVUTTRA	25MG INJ SOL ISP 1X0,5ML

(dále jen „LPVO AMVUTTRA“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS49084/2024,

jehož účastníky jsou:

Česká průmyslová zdravotní pojišťovna,

se sídlem Jeremenkova 161/11, 703 00 Ostrava, IČ: 47672234

Oborová zdravotní pojišťovna zaměstnanců bank, pojišťoven a stavebnictví,

se sídlem Roškotova 1225/1, 140 00 Praha 4, IČ: 47114321

RBP, zdravotní pojišťovna,

se sídlem Michálkovická 967/108, 710 00 Ostrava, IČ: 47673036

Vojenská zdravotní pojišťovna České republiky,

se sídlem Drahobejlůva 1404/4, 190 00 Praha 9, IČ: 47114975

Zaměstnanecská pojišťovna Škoda,

se sídlem Husova 302, 293 01 Mladá Boleslav, IČ: 46354182

Zdravotní pojišťovna ministerstva vnitra České republiky,

se sídlem Vinohradská 2577/178, 130 00 Praha 3, IČ: 47114304

všichni výše uvedení společně zastoupeni Svazem zdravotních pojišťoven ČR, z. s., se sídlem náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3, IČ: 63830515 (dále též jen „Svaz“)

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

Alnylam Netherlands B.V., se sídlem Antonio Vivaldistraat 150, 1083HP Amsterdam, Nizozemské království, IČ: 69382115
Zastoupena: **Medison Pharma s.r.o.,** se sídlem Plynární 1617/10, 170 00 Praha 7, IČ: 08818126 (dále též jen „žadatel“)

Česká lékařská společnost J.E. Purkyně,
se sídlem Sokolská 490/31, 120 00 Praha 2, IČ: 00444359 (Česká neurologická společnost, Česká internistická společnost) (dále též jen „ČLS JEP“ nebo „odborná společnost“)

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

Česká asociace pro vzácná onemocnění, z.s.,
se sídlem Bělohorská 269/19, 169 00 Praha 6 - Břevnov, IČ: 22748270
(dále též jen „ČAVO“ nebo „patientská organizace“)

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

závazné stanovisko:

Podle § 39da odst. 6 písm. c) zákona č. 48/1997 Sb. Ministerstvo zdravotnictví nesouhlasí se stanovením úhrady LPVO AMVUTTRA z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. suk1277767/2024 ze dne 30. 10. 2024.

Odůvodnění:

Dne 30. 10. 2024 postoupil Ústav Ministerstvu zdravotnictví (dále jen „ministerstvo“) v souladu s § 39da odst. 5 zákona č. 48/1997 Sb. upravenou hodnotící zprávu vydanou v řízení o stanovení výše a podmínek úhrady léčivého přípravku určeného k léčbě vzácných onemocnění sp. zn. SUKLS49084/2024 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na 27. 11. 2024 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 léčivého přípravku pro vzácná onemocnění (dále jen „LPVO“), upravenou 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 upravené hodnotící zprávy a odůvodněného podkladu poradního orgánu pro vydání závazného stanoviska ministerstva vyplynulo následující.

Léčivý přípravek (LPVO) AMVUTTRA (obsahující léčivou látku vutrisiran) je dle SmPC indikován k léčbě hereditární transthyretinové amyloidózy u dospělých pacientů s polyneuropatií v 1. či 2. stadiu.

Ze spisové dokumentace vedené pod sp. zn. SUKLS49084/2024 (dále jen „podklady ve spise“) vyplynulo, že dosavadní klinický program zahrnuje 1 studii fáze III HELIOS-A, v níž se LPVO AMVUTTRA srovnává s externí placebovou skupinou (a léčivou látkou patisiran). Léčba vutrisiranem prokázala klinicky a statisticky významné zlepšení pro poškození tkání neuropatií (změna skóre mNIS +7: léčebný rozdíl jako LS průměr: -17,0 v měsíci 9; -28,5 v měsíci 18). Dále bylo pozorováno statisticky významné zlepšení v rychlosti chůze, nutričním stavu, kvalitě života a celkové invaliditě. Nežádoucí účinky terapie vutrisiranem byly obecně akceptovatelné.

Tato studie sloužila pro registrační proceduru na EMA (datum registrace: 15. 9. 2022) pro prokázání pozitivního poměru riziko/benefit. K dispozici nejsou data z klinické praxe, která by informace a podklady z klinických studií potvrzovala či doplňovala.

Z podkladů ve spise vyplynulo, že **hereditární transthyretinová amyloidóza (hATTR) s polyneuropatií (PN)** je dědičné progresivní, invalidizující a život zkracující onemocnění v důsledku rozvoje těžké polyneuropatie zapříčiněné extracelulárním ukládáním amyloidních fibril ve tkáních.

Onemocnění postupně vede ke snížení až úplné ztrátě motoriky, svalové síly, senzorycké percepce. Nezbytná dopomoc při chůzi se dostavuje po zhruba 5 letech trvání onemocnění, po přibližně 10 letech trvání nemoci je již pacient zcela imobilní (upoután na lůžko, potřeba invalidního vozíku). Průměrné přežití se uvádí mezi 6 až 12 lety od počátku onemocnění, k úmrtí dochází nejčastěji z kardiologických příčin. Onemocnění má zásadní vliv na snížení kvality života. Onemocnění má fatální prognózu. Progrese hATTR je spojena s neodvratným předčasným úmrtím a zkráceným dožitím o 60-80 % (při předpokladu dožití 29 let v 50. roku věku u mužů dle aktuálních dat úmrtnostních tabulek). Postižení pacienti se vzhledem k věku ještě nachází v produktivním stavu, postupující nemoc tudíž pacienta vyřazuje z pracovního zařazení, v relativně krátkém časovém sledu je nemocný závislý na pomoci rodiny a/nebo pečovateli ve většině aktivit, sebeobsluže, zdravotní péči.

S ohledem na doporučené postupy v posuzované indikaci a vyjádření odborníků i patientské organizace ve spise, jsou v podmínkách klinické praxe v ČR za relevantní komparátory považovány následující terapeutické postupy:

- pro stádium 1: tafamidis a nejlepší podpůrná léčba (BSC);
- pro stádium 2: nejlepší podpůrná léčba (BSC).

Léčba tafamidem není standardně hrazena z prostředků veřejného zdravotního pojištění (úhrada prostřednictvím § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění na základě schválení individuální žádosti pacienta).

Dle podkladů shromážděných ve spise bylo možno LPVO AMVUTTRA porovnat se současným standardem léčby. Ústav konstatoval, že oproti terapii LPVO VYNDAQEL 20MG (tafamidis) je LPVO AMVUTTRA na základě nepřímého srovnání ITC účinnější. Oproti placebo/BSC je LPVO AMVUTTRA na základě studie HELIOS-A účinnější. Bezpečnostní profil vutrisiranu je přijatelný.

Posouzen byl celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění, který spočívá **ve snížení morbidit, zlepšení špatné prognózy, zlepšení kvality života pacientů.**

Cílem terapie onemocnění je zastavení progrese či stabilizace onemocnění, navození dlouhodobé remise. Pacienti v počátečních stádiích onemocnění jsou při terapii vutrisiranem schopni setrvat v zaměstnání, nepotřebují nutně dopomoc při sebeobsluže, u běžných denních aktivit.

Celosvětová prevalence hATTR-PN je odhadována na 1/1 000 000, v ČR se onemocnění vyskytuje výjimečně. Velikost cílové populace v ČR lze aktuálně odhadovat přibližně na 2-6 pacientů, s výskytem 1 nového pacienta ročně, odhad je však významně nejistý.

Důkazy ve spise k posuzovanému LPVO AMVUTTRA prokázaly zastavení/zpomalení progresu onemocnění (pacient setrvá ve stavu bez další progresu onemocnění) po dobu 18 měsíců léčby prostřednictvím benefitu v účinnosti dle parametru poškození neuropatií.

Dlouhodobé modelace přínosu v základním scénáři ilustrují výše popsany benefit (v základním scénáři) jako zisk 2,43 QALY pro jednoho pacienta v celoživotním horizontu oproti BSC.

Pro posouzení dopadu na systém sociálního zabezpečení nebyla k dispozici relevantní data (výše sociálních dávek, vyčíslení invalidních důchodů).

Náklady na zdravotní péči, zdravotní pomůcky a sociální náklady (včetně nákladů na neformální péči) pacientů léčených současným standardem léčby jsou odvislé od rozsahu postižení, nejsou však zanedbatelné, zatěžují rodinné kapacity a zdroje. Konkrétní data nejsou k dispozici.

Posuzovaný LPVO AMVUTTRA má teoretická očekávání na vyšší soběstačnost pacientů, nižší zátěž pečovatелů (tudíž nižší čerpání sociálních dávek pacientů/pečovatелů), nižší morbiditu a delší dožití pacientů.

Výše uvedené bylo částečně reflektováno ve scénářích nákladové efektivity z celospolečenské perspektivy (žadatel zohlednil snížení kvality života pečovatелů a náklady na ztrátu produktivity v terminálním stavu modelace). Výsledky naznačují, že zahrnutí sociálních dopadů má vliv na poměr nákladů a přínosů oproti základnímu scénáři výhradně z pohledu veřejného zdravotního pojištění.

Aktuální klinické důkazy k LPVO AMVUTTRA se omezují na 18měsíční výsledky terapie, z nichž je však evidentní léčebný efekt na stabilizaci klinického stavu. Posuzovaný LPVO však nedisponuje důkazy o delším dožití pacientů, nižší morbiditě nebo nižším čerpání sociálních dávek pacientů, avšak vzhledem k parametru účinnosti v postižení neuropatií lze pouze předpokládat přímý vliv na uvedené objektivní klinické a celospolečenské přínosy. Lze očekávat, avšak již nelze vyčíslit, příznivý dopad na systém sociálního zabezpečení (jak z hlediska pacienta, tak z hlediska pečovatele-rodinného příslušníka), z hlediska zdravotních přínosů prodloužení celkového dožití při léčbě vutrisiranem.

Při posuzování prokazatelného přínosu na zlepšení kvality života pacienta byl poradní orgán seznámen s výsledky podkladové studie HELIOS-A, v jejímž rámci byla sledována kvalita života, a to pomocí specifického dotazníku kvality života Norfolk QoL-DN a dotazníku pro sebeobsluhu pacienta R-ODS vyhodnocených po 18 měsících léčby. Důkazy z podkladové studie HELIOS-A prokazují pozitivní vliv hodnoceného léčivého přípravku na kvalitu života (např. dle Norfolk QOL-DN) oproti neléčbě (placebo, BSC). Důkazy k posuzovanému LPVO AMVUTTRA prokazují pozitivní vliv hodnoceného léčivého přípravku na kvalitu života (např. dle Norfolk QOL-DN) oproti léčbě tafamidem na základě nepřímého srovnání ITC.

Dle názoru Ústavu lze mít jednoznačně za prokázané, že LPVO AMVUTTRA vede ke zlepšení kvality života pacienta. Ústav na základě podkladů ve spise shrnuje, že pokud je efektivní terapie posuzovaného onemocnění zahájena včasné po nástupu symptomů, dochází průkazně ke zpomalení progresu onemocnění a rovněž oddálení nástupu závažné disability pacienta. Díky tomu pacient může setrvat déle práceschopný, soběstačný

z pohledu běžných denních aktivit a nemusí nezbytně vyžadovat dodatečnou péči rodinných příslušníků či formálních pečovateli (nebo v nižší míře než bez podání cílené terapie), ne nutně musí čerpat dávky ze systému sociálního zabezpečení (nemocenské, důchodové pojištění).

Poradní orgán byl Ústavem informován, že národní doporučené postupy pro specifickou terapii hATTR-PN v současné době neexistují. V moderní farmakoterapii cílené na hATTR-PN jsou uváděny stabilizátory TTR (tafamidis, diflunisal) a RNAi terapie (patisiran, vutrisiran) a ASO terapie (inotersen, eplotersen), dále je zmiňována genová terapie NTLA-2001. Léčba by měla být zahájena ihned po diagnóze onemocnění. Strategie léčby hATTR spočívají ve zpomalení progresu onemocnění, a tím snížení postižení tkání. Jednou z uváděných možností snížení produkce TTR je transplantace jater, která přináší zlepšení či stabilizaci periferní nebo autonomní neuropatie. Limitací transplantace jater je však vyšší morbidita a mortalita, nutnost dlouhodobé imunosupresivní léčby. Transplantace jater není standardně považována za léčbu první volby.

V evropském doporučení Adams 2016 je pro pacienty ve stádiu 1 hATTR-PN uváděn tafamidis jako léčivo první volby, případně diflunisal. Diflunisal je také uváděn jako léčivo pro pacienty ve stádiu 2. V kanadských doporučeních 20227 je uveden inotersen nebo patisiran jako léčivo první volby. Panel expertů v USA Karam 20232 doporučuje jako léčivo první volby některý z TTR gene-silencers (RNAi patisiran, vutrisiran; ASO: inotersen, eplotersen). Zmiňovaná doporučení neuvádí kombinované použití vutrisiranu s jinými specifickými moderními farmakoterapiemi. Žádná z uvedených farmakoterapií nemá v ČR stanovenou trvalou úhradu v posuzované indikaci.

Česká republika disponuje jedenácti neuromuskulárními centry, ve kterých má péče o pacienty s hATTR-PN, vzhledem k charakteru obtíží, probíhat.

Při projednání analýzy nákladové efektivity poradní orgán zjistil jisté limitace oproti standardům uvedeným v metodice SP-CAU-28. Základním nedostatkem bylo nezohlednění komparátoru LP VYNDAQEL 20MG pro populaci pacientů ve stádiu 1 a dále nepředložení veškerých zdrojů nutných k ověření vstupů do analýzy.

I přes uvedené limitace Ústav vypracoval modelace, které uvádí v celoživotním horizontu (30 let) v základním scénáři se inkrementální benefit jeví ve výši 2,43 QALY a 1,85 LYG a inkrementální náklady 45 204 706 Kč, inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) je tedy ve výši 18 640 675 Kč/QALY.

V případě celospolečenské perspektivy je inkrementální benefit 2,71 QALY a inkrementální náklady jsou 44 796 758 Kč, inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) je tedy ve výši 16 506 276 Kč/QALY. S ohledem na limitace ve stanovení disutility pro pečovatele považuje Ústav výsledky analýzy z celospolečenské perspektivy za nejisté. Analýza z vládní perspektivy nebyla pro projednání poradnímu orgánu předložena.

Při posuzování předpokládaného dopadu do rozpočtu zohledňujícího veřejný zájem poradní orgán shledal, že po metodické stránce nevyhovují standardům Ústavu, konkrétně metodice SP-CAU-27, přičemž limitací bylo nezohlednění komparátoru LPVO VYNDAQEL 20MG pro relevantní subpopulaci. Analýza dopadu na rozpočet LPVO AMVUTTRA z perspektivy plátců zdravotního pojištění ve srovnání s komparátorem BSC odhaduje 2 až 6 léčených pacientů v 1.–5. roce (z toho 1 pacient každý rok zahájí léčbu nově) a ukazuje výsledek ve výši 30 až

45 milionů Kč v prvních pěti letech. Celkové průměrné náklady na jednoho pacienta léčeného LPVO AMVUTTRA jsou 15 002 967 Kč (v prvním roce léčby), léčeného BSC jsou 0 Kč. Analýza dopadu na rozpočet z celospolečenské a vládní perspektivy nebyla předložena.

Uvedené výsledky analýzy nákladové efektivity a předpokládaného dopadu do rozpočtu nezohledňují uzavřená finanční ujednání, se kterými byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství.

Při posuzování podmínek úhrady z prostředků zdravotního pojištění vzal poradní orgán na vědomí návrh Ústavu, který akceptoval návrh žadatele k podmínkám úhrady, jenž je v souladu s registrovanou indikací, klinickými podklady i vyjádřením odborné společnosti a neobsahuje návrh konkrétního znění či úpravy indikačního omezení.

V neposlední řadě poradní orgán posoudil i Ústavem identifikovaná hodnocení zahraničních agentur. NICE 2023: Vutrisiran je doporučen jako možnost léčby hATTR u dospělých s polyneuropatií 1. nebo 2. stupně pouze v případě, že společnost poskytuje vutrisiran v souladu s obchodním ujednáním. Pokud je vutrisiran jednou z více vhodných farmakoterapií, je vybrána nejméně nákladná z nich (při zohlednění náklady na podávání, dávkování, cenu za dávku a obchodní ujednání). V rámci Velké Británie je hATTR obvykle léčena patisiranem, který je již schválen. Důkazy z klinické studie a nepřímého srovnání ukazují, že vutrisiran funguje stejně dobře jako patisiran. HAS 2022: k terapii hATTR-PN schváleny patisiran, inotersen a tafamidis. U časných forem onemocnění prováděna transplantace jater. Vutrisiran prokázal noninferioritu účinku oproti patisiranu. Léčbou první volby u dospělých pacientů s hATTR amyloidózou s polyneuropatií ve stadiu 1 nebo 2 zůstává patisiran. Vutrisiran neposkytuje žádnou terapeutickou výhodu oproti patisiranu. CADTH 2024: Nejpoužívanější současnou terapií označuje kanadská komise patisiran, dostupný je také inotersen (obě léčivé látky již schváleny s pozitivním doporučením CADTH). Výsledky studie ukázaly, že LPVO AMVUTTRA má obdobnou účinnost a bezpečnost jako v současnosti dostupná léčba patisiranem. Komise doporučuje vutrisiran k úhradě v registrované indikaci, tj. u pacientů s hATTR-PN ve stadiu 1 nebo 2, tedy těch, kteří mají symptomatickou neuropatii v časném stadiu, definovanou jako PND ve stadiu I až ≤ IIIB nebo FAP ve stadiu I nebo II, zároveň bez příznaků závažného srdečního selhání (definovaného jako třída NYHA III nebo IV) a bez předchozí transplantace jater. Náklady na LPVO AMVUTTRA by neměly přesáhnout náklady na jiné léky na hATTR-amyloidózu. AOTMiT 2023: Případné rozhodnutí o úhradě vutrisiranu musí zohlednit náklady na uvedené terapie zaměřené na TTR. IQWiG/G-BA 2023: v Německu schváleny již tafamidis, inotersen, patisiran. Z celkového hodnocení vyplývá, že agentura identifikovala pro vutrisiran pouze mírný dodatečný přínos oproti patisiranu. TLV 2023: LPVO AMVUTTRA je schválen pro úhradu v registrované indikaci pro pacienty, u nichž se stav zhoršil i přes léčbu stabilizátorem TTR (tafamidis). Stejně podmínky úhrady jsou stanoveny patisiranu a inotersenu. NIHO 2024: na Slovensku je indikovaným pacientům dostupná léčivá látka patisiran. Agentura vyhodnotila, že léčba vutrisiranem neprokázala přínos oproti patisiranu, proto považuje účinnost těchto léčiv za podobnou. Agentura doporučila nevyhovět žádosti o zahrnutí LPVO AMVUTTRA do seznamu kategorizovaných léčiv, pokud držitel rozhodnutí o registraci nesníží svůj návrh výše úhrady na požadovanou hodnotu (tak, aby byla splněna kritéria nákladové efektivity léčby vutrisiranem).

Dle § 39b odst. 10 písm. a) a c) zákona č. 48/1997 Sb. a § 34 odst. 1 a odst. 2 a § 39 vyhlášky č. 376/2011 Sb. Ústav navrhl stanovit tyto podmínky úhrady:

S

P: Vutrisiran je hrazen u dospělých pacientů s hereditární transthyretinovou amyloidózou s polyneuropatií v 1. či 2. stádiu.

Po posouzení předložených podkladů a následně rozpravě poradní orgán neshledal stanovení maximální ceny a výše podmínek úhrady LPVO AMVUTTRA za souladné s veřejným zájmem a **většinou hlasů nedoporučil ministerstvu zdravotnictví úhradu stanovit.**

Poradní orgán rozhodl s vědomím toho, že pro posouzení k zařazení LPVO AMVUTTRA do systému úhrad jsou k dispozici pouze krátkodobá data, což je vzhledem k charakteru onemocnění nedostatečné. V době projednání nejsou k dispozici data z klinické praxe, která by informace a podklady z klinických studií potvrzovala či doplňovala.

Poradní orgán přihlédl k důkazům ve spise o tom, že existují jiné terapeutické postupy, které jsou relevantními v podmínkách klinické praxe v ČR, jako je léčba tafamidem. V rámci řízení nebyla, a to i v souvislosti s hodnocením nákladové efektivity a vysokými náklady na posuzovaný přípravek, diskutována možnost léčení příbuzným preparátem patisiran, který je v zahraničních postupech velmi preferován a má stejný mechanismus účinku jako LPVO AMVUTTRA (léčivá látka vutrisiran).

Aktuální klinické důkazy se omezují na 18měsíční výsledky terapie, z nich je evidentní léčebný efekt na stabilizaci klinického stavu, ale již neposkytuje důkazy o delším dožití pacientů a nižší morbiditě nebo nižším čerpání sociálních dávek.

Míra nejistoty v kombinaci s extrémně vysokými náklady na léčbu každého pacienta posuzovaným přípravkem členy poradního orgánu nepřesvědčila o tom, že by zařazení LPVO do systému úhrad bylo v souladu s veřejným zájmem. Poradní orgán shodně konstatoval, že i přes uzavřené smlouvy žadatele se zdravotními pojišťovnami je poměr ICER/QALY na pacienta příliš vysoký. Negativně rovněž poradní orgán hodnotil absenci hodnocení nákladové efektivity v porovnání s LPVO VYNDAQEL. LPVO VYNDAQEL je významně levnější, pro plnohodnotné posouzení však chybí farmakoekonomické srovnání. Není tak možné odpovědně posoudit, zda je klinický výsledek posuzované terapie o tolik lepší, aby to odpovídalo cenovému rozdílu mezi ní a terapií LPVO VYNDAQEL. Poradní orgán se proto drtivou většinou hlasů usnesl, že za těchto okolností by souhlas se stanovením výše a podmínek úhrady LPVO AMVUTTRA z veřejného zdravotního pojištění nebyl odpovědný.

Po seznámení se s doporučením poradního orgánu a všemi okolnostmi projednávaného případu se ministerstvo rozhodlo postupovat dle § 39da odst. 6 písm. c) zákona č. 48/1997 Sb., tedy nesouhlasit se stanovením úhrady ve výši a za podmínek uvedených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. sukl277767/2024 ze dne 30. 10. 2024.

Ministerstvo se ztotožňuje s doporučením vyjádřeným poradním orgánem (viz výše) a konstatuje, že vysoké náklady na léčbu jednoho pacienta LPVO AMVUTTRA i přes uzavřená smluvní ujednání vyžadují přesvědčivější data o přínosech léčby, která však

předložena nebyla. K dispozici jsou pouze krátkodobá data, což je vzhledem k charakteru onemocnění nedostatečné, a k negativnímu stanovisku přispívá i absence dat z klinické praxe, která by klinické studie potvrdila.

Ministerstvo vnímá významné limitace bránící posouzení analýzy nákladové efektivity i předpokládaného dopadu do rozpočtu a souhlasí s názorem poradního orgánu, že souhlas s tak vysokými náklady na léčbu, který by i přes uzavřená smluvní ujednání vstup LPVO AMVUTTRA do systému trvalých úhrad pro pojišťovny znamenal, není za daných okolností souladný s veřejným zájmem.

S vědomím uvedeného, po prostudování důkazů ve spise a s odpovědností za zajištění zdravotních služeb pro všechny pojištěnce v České republice je ministerstvo toho názoru, že v současné době je pro LPVO AMVUTTRA odpovědnější cestou zachování řízení dle § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění, které umožní individuální posouzení vhodné přídatné léčby vzhledem ke konkrétnímu specifickému stavu každého jednoho pacienta.

K tomuto rozhodnutí dospělo ministerstvo se vši odpovědností ve vztahu k omezeným zdrojům, jež má fond veřejného zdravotního pojištění k dispozici. Otázka vývoje a financování zdravotní péče tak vždy bude o hledání míry balance mezi vhodnou mírou státní regulace a ponecháním volné ruky trhu.

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