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

Praha, *(datum uvedeno v doložce e-podpisu)*

Č. j.: MZDR 22857/2024-5/MIN/KAN

MZDRX01TFCKX

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	Doplněk názvu
L01EX18	0255524	AYVAKYT	50MG TBL FLM 30
L01EX18	0249914	AYVAKYT	100MG TBL FLM 30
L01EX18	0249915	AYVAKYT	200MG TBL FLM 30

(dále jen „LPVO AYVAKYT")

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav") pod sp. zn. SUKLS295286/2023,

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 Drahobejlova 1404/4, 190 00 Praha 9, IČ: 47114975

Zaměstnanecká 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**“)

Blueprint Medicines (Netherlands) B.V., se sídlem Gustav Mahlerplein 2, 1082MA Amsterdam, Nizozemské království, IČ: KVK 73832901
Zastoupena: **Swixx Biopharma s.r.o.,** se sídlem Hybernská 5, 110 00 Praha 1, IČ: 06137521
(dále též jen „**žadatel**“)

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

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

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

závazné stanovisko:

Podle § 39da odst. 6 písm. a) zákona č. 48/1997 Sb. Ministerstvo zdravotnictví souhlasí se stanovením úhrady LPVO AYVAKYT z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. sukl215964/2024 ze dne 27. 8. 2024.

O d ů v o d n ě n í :

Dne 27. 8. 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. SUKLS295286/2023 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na 2. 10. 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) AYVAKYT (obsahující léčivou látku avapritinib) je dle SmPC v monoterapii indikován k léčbě dospělých pacientů s agresivní systémovou mastocytózou (aggressive systemic mastocytosis, ASM), systémovou mastocytózou s přidruženým hematologickým novotvarem (systemic mastocytosis with an associated haematological neoplasm, SM-AHN) nebo mastocytární leukémií (mast cell leukaemia, MCL) po nejméně jedné systémové léčbě.

Ze spisové dokumentace vedené pod sp. zn. SUKLS295286/2023 (dále jen „podklady ve spise“) vyplynulo, že dosavadní klinický program zahrnuje dvě nekomparativní jednoramenné studie: studii fáze 1, BLU-285-2101 a studii fáze 2 BLU-285-2202. K dispozici je rovněž retrospektivní nepřímé srovnání účinnosti avapritinibu (z obou výše uvedených studií) oproti standardu (BAT - „best available treatment“), které přináší studie BLU-285-2405. Uvedené srovnání dokládá významný přínos pro celkové přežití pacientů léčených avapritinibem oproti BAT, které zahrnovalo zejména midostaurin a kladribin (dále též hydroxyureu, azacitidin, interferon alfa, pegylovaný interferon, brentuximab vedotin a další léčiva) (HROS 0,48 [95% CI 0,29 – 0,79]; medián 49,0 měs. oproti 26,8 měs). Výsledky oddělených srovnání avapritinibu oproti monoterapii midostaurinem, monoterapii kladribinem vycházejí konzistentně ve prospěch avapritinibu, srovnání oproti nejlepší podpůrné léčbě není sice k dispozici, nicméně žadatel pro tento případ konzervativně použil srovnání oproti BAT, což Ústav akceptoval (jelikož v mixu BAT jsou zařazeny i poměrně účinné režimy,

tj. monoterapie midostaurinem a kladribinem). Data z klinické praxe, která by informace a podklady z klinických studií potvrzovala či doplňovala, nejsou dosud k dispozici (ani pro ČR, ani pro zahraničí).

Z podkladů ve spise vyplynulo, že **Pokročilá systémová mastocytóza (AdvSM)** je nejzávažnější formou systémové mastocytózy (klonální myeloproliferace žírných buněk). U více než 90 % pacientů je zjišťována mutace KIT D816V. Onemocnění má zásadní vliv na očekávanou délku života. Medián věku pacientů zařazených do registračních studií EXPLORER a PATHFINDER byl 68 let (což je věk, v němž očekávaná doba dožití dosahuje cca 14 let u mužů a zhruba 17 let u žen), přežití pacientů z kontrolního ramene (z retrospektivního srovnání s nejlepší dostupnou terapií) dle vyváženého srovnání v mediánu dosáhlo 26,8 měsíců (tj. kolem dvou let). Onemocnění léčené dosud dostupnou terapií tedy zkracuje očekávanou délku života o téměř 12 let u mužů a 15 let u žen.

S ohledem na doporučené postupy v posuzované indikaci a vyjádření odborníků ve spise (ČHS), byly za relevantní komparátory považovány následující režimy terapie:

a) monoterapii midostaurinem (v posuzované indikaci registrován, nemá pro ni však stanovenou úhradu, nicméně ČHS neuvádí problémy s jeho úhradou);

b) monoterapii kladribinem (v posuzované indikaci není registrován [LP LITAK], nicméně je hrazen a má stanoveno pouze preskripční omezení [E/HEM, ONK] a dle vyjádření ČHS je v posuzované indikaci v české klinické praxi běžně užíván a standardně hrazen);

c) nejlepší podpůrnou léčbu (pro pacienty, kteří již vyčerpali výše uvedené monoterapie v předchozí léčbě).

Dle podkladů shromážděných ve spise bylo možno přípravek porovnat s jednotlivými režimy současného standardu léčby. K přidané terapeutické hodnotě přípravku, i s přihlédnutím ke kvalitě důkazů, se lze vyjádřit ve srovnání se všemi obvykle užívanými a zároveň hrazenými léčebnými alternativami, tj. relevantními komparátory.

Oproti monoterapii midostaurinem je monoterapie avapritinibem (LPVO AYVAKYT) v parametru celkové přežití (dále jen „OS“) **významně účinnější** (srovnání dle posteru Reiter et al., 2022b).

Rovněž **oproti monoterapii kladribinem** je monoterapie LPVO AYVAKYT (na základě nepřímého srovnání předloženého v režimu obchodního tajemství) v parametru OS **významně účinnější**.

Srovnání **oproti nejlepší podpůrné léčbě nebylo předloženo**, žadatel konzervativně použil srovnání s BAT (nejlepší dostupnou léčbou, zahrnující midostaurin a kladribin s popsanou účinnosti v posuzované indikaci), které dokládá **významně vyšší účinnost** v parametru OS, a které Ústav v upravené hodnotící zprávě akceptoval jako konzervativní.

Profil bezpečnosti monoterapie LPVO AYVAKYT lze mít za srovnatelný s bezpečnostním profilem komparátorových režimů (monoterapie midostaurinem či kladribinem), pouze s více vyjádřenou hematologickou toxicitou. Srovnání profilů bezpečnosti LPVO AYVAKYT a BSC není Ústavu k dispozici, ze srovnání oproti BAT je patrná více vyjádřená hematologická toxicita stupně ≥ 3.

Posouzen byl celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění, který spočívá v **prodloužení očekávané délky života**. Onemocnění významným způsobem

zkracuje očekávanou délku života – na mixu komparátorových terapií cca na 26,8 měsíců, na monoterapii avapritinibem cca na 49 měsíců. Dopad na systém sociálního zabezpečení lze, i ve srovnání s dopadem na systém zdravotního pojištění popsaným níže, považovat za nevelký, neboť i pro pacienty v produktivním věku neznamená prodloužení života z cca 2 let na 4 roky návrat do pracovního procesu. Náklady na zdravotní pomůcky jsou zanedbatelné. Populace pacientů sledovaná v registračních studiích byla navíc populací starší, s mediánem věku 68 let.

V rámci EU byla prevalence mastocytózy akceptována Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění (EMA) ve výši 3 případy / 10 000 obyvatel Evropské unie (viz AYVAKYT Orphan Maintenance Assessment Report). Publikovaná hodnota prevalence specifická pro Českou republiku nebyla poradnímu orgánu k dispozici. K dispozici byl ve spise založený odhad odborné společnosti, která odhadla prevalenci mastocytózy v ČR celkem na 200 pacientů (z toho cca 81-2 pacientů s AdvSM: 40 pacientů ASM, 40 SM-AHN a 1-2 MCL); a incidenci SM na 0,8 / 100 tis. obyvatel. Ve svých odhadech incidenčního ročního počtu pacientů však odborná společnost nekalkulovala s úbytkem pacientů po první linii terapie.

V původním podání žadatel uvažoval cca 5-6 incidenčních pacientů ročně, na základě stanoviska odborné společnosti odhad upravil na 13 léčených, po zohlednění penetrace uvažuje 10 incidenčních pacientů ročně, což Ústav považuje za horní mez možného odhadu.

S ohledem na skutečnost, že pacienti na terapii avapritinibem přežívají déle než jeden rok (v mediánu cca 4 roky), byla velikost cílové populace přibližně odhadnuta na 8–27 pacientů léčených v prvních pěti letech.

Při posuzování prokazatelného přínosu na zlepšení kvality života pacienta byl poradní orgán seznámen se studiemi, jejichž výstupy svědčí o tendenci k pozitivnímu vlivu léčby na kvalitu života léčených, byť statistická významnost zjištění není uvedena, jedná se pouze o data o kvalitě života pacientů léčených avapritinibem. Poradnímu orgánu nebyly dostupné podklady umožňující porovnat kvalitu života pacientů léčených monoterapií avapritinibem a pacientů léčených dalšími komparátorovými režimy (monoterapie midostaurinem, kladribinem, nebo nejlepší podpůrnou léčbou).

Poradní orgán byl Ústavem informován, že terapii LPVO AYVAKYT je vhodné podávat v centrech specializované hematoonkologické péče pro dospělé pacienty, jejichž seznam je dostupný na webových stránkách Ministerstva zdravotnictví České republiky. Z důkazů ve spise rovněž vyplynulo, že pro terapii onemocnění pokročilou systémovou mastocytózou jsou k dispozici americké doporučené postupy (NCCN, verze 3.2024).

Při projednání analýzy nákladové efektivity se poradní orgán přiklonil k názoru Ústavu, který největší nejistotu spatřuje u údajů o účinnosti. Údaje v rameni hodnocené intervence jsou velmi nezralé a přínosy v rameni komparátoru byly namísto přímé extrapolace odvozovány pomocí nejistých poměrů rizik. Analýza nákladové efektivity léčivého přípravku AYVAKYT (avapritinib) z perspektivy plátců zdravotního pojištění ve srovnání s midostaurinem ukazuje hodnocenou intervenci jako více účinnou (rozdíl přínosů 1,41 QALY) a nákladnější (rozdíl 9,45 mil. Kč) s odhadovaným poměrem inkrementálních nákladů a přínosů (ICER) ve výši 6,69 mil. Kč/QALY. Obdobně ve srovnání s nejlepší podpůrnou léčbou (BSC) (rozdíl přínosů 2,42 QALY) a nákladnější (rozdíl 23,92 mil. Kč) s odhadovaným poměrem inkrementálních nákladů a přínosů (ICER) ve výši 9,89 mil. Kč/QALY. S výsledky srovnání s kladribinem byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství. Přínos hodnocené terapie ve srovnání s kladribinem lze oproti srovnání s BSC očekávat mírně nižší. Při přibližně

shodných nákladech jako u BSC tak odhadovaný ICER bude mírně vyšší než v případě srovnání s BSC. Uvedené výsledky nezohledňují uzavřená finanční ujednání u LPVO AYVAKYT, s nimiž byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství a zkonstatoval, že při jejich zohlednění jsou výsledky příznivější.

Analýzy nákladové efektivity z celospolečenské perspektivy a z vládní perspektivy nebyly poradnímu orgánu předloženy z důvodu nedostatku vstupních údajů.

Při posouzení analýzy dopadu na rozpočet bylo zjištěno, že po metodické stránce předložené analýzy dopadu na rozpočet částečně nevyhovují standardům Ústavu, resp. metodice SP-CAU-27, z důvodu uvažovaných nákladů na komparátor midostaurin, kde nebylo zohledněno nižší reálné dávkování tohoto přípravku. Poradní orgán akceptoval vlastní přepočet Ústavu tak, aby uvedené výsledky bylo možno považovat za metodicky vyhovující. Analýza dopadu na rozpočet LPVO AYVAKYT (avapritinib) z perspektivy plátců zdravotního pojištění ve srovnání s komparátory, midostaurinem, kladribinem, BSC odhadla počet 10 pacientů zahajujících léčbu avapritinibem ročně s dopadem na rozpočet ve výši 17,0 až 98,3 mil. Kč, pro 8-27 pacientů léčených v prvních pěti letech. Při zohlednění uzavřených finančních ujednání jsou výsledky příznivější. Celkové roční náklady na jednoho pacienta léčeného LPVO AYVAKYT představovaly 5 614 672 Kč, midostaurinem 11 527 049 Kč, kladribinem 1 168 800 Kč, nejlepší podpůrnou léčbou (BSC) 485 993 Kč.

Analýzy dopadu na rozpočet z celospolečenské perspektivy a z vládní perspektivy nebyly poradnímu orgánu předloženy z důvodu nedostatku vstupních údajů.

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 se zněním platného SmPC a doporučeními NCCN. Nad rámec pouze upřesnil podmínky ukončení úhrady do progrese onemocnění nebo nepřijatelné toxicity (dle registračních studií a SmPC). Jak bylo uvedeno výše, poradní orgán rovněž v této souvislosti posoudil informace o případné existenci finančních ujednání mezi držitelem registrace a zdravotními pojišťovnami, a to v režimu obchodního tajemství.

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: *Avapritinib je hrazen jako monoterapie k léčbě dospělých pacientů s pokročilou systémovou mastocytózou s mutací KIT D816V (tj. s agresivní systémovou mastocytózou, systémovou mastocytózou s přidruženým hematologickým novotvarem nebo s mastocytární leukémií) po nejméně jedné systémové léčbě, kteří nejsou způsobilí pro alogenní transplantaci kmenových buněk. Léčba avapritinibem je hrazena do progrese onemocnění nebo vzniku nepřijatelné toxicity.*

Po posouzení předložených podkladů a následné rozpravě poradní orgán shledal stanovení maximální ceny a výše podmínek úhrady LPVO AYVAKYT za souladné s veřejným zájmem a **většinou hlasů doporučil ministerstvu vyslovit souhlas se stanovením úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění ve výši a za podmínek uvedených v upravené hodnotící zprávě s tím, že bude postupováno v souladu s dohodou mezi žadatelem (držitel rozhodnutí o registraci) a plátci (zdravotní pojišťovny)**, s jejímiž výsledky byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství.

Poradní orgán rozhodl s vědomím toho, že pokročilá systémová mastocytóza (AdvSM), která se objevuje asi u 10 % všech případů systémové mastocytózy a zahrnuje v sobě nejagresivnější život ohrožující formy (tj. dospělí pacienti s ASM, SM-AHN nebo MCL po nejméně jedné systémové léčbě), významně zkracuje očekávanou délku života cílové skupiny pacientů, pro něž je žádána úhrada. Onemocnění léčené dosud dostupnou terapií tedy zkracuje očekávanou délku života o cca 12 let u mužů a 15 let u žen. Při porovnání se standardní nejlepší dostupnou léčbou (BAT), při které je medián celkového přežití cca dva roky, nabízí LPVO AYVAKYT (dle posouzených studií) významně delší dobu přežití. Z důkazů ve spise rovněž vyplynulo, že vedle prodloužení doby života se současně zvyšuje i kvalita života.

Poradní orgán přihlédl k důkazům ve spise o účinnosti a bezpečnosti posuzovaného LPVO a došel k názoru, že s ohledem na závažnost onemocnění a na to, že LPVO je statisticky i klinicky významně účinnější než minostaruin, klaudrubin a BSC komparátory, dokáže zajistit naplnění cíle léčby, tedy indikovaným pacientům násobně prodloužit dobu dožití. Důkazy ve spise navíc indikují (nedokončené studie), že do budoucna budou vyhlídky na dožití ještě pozitivnější.

Byť je výsledek analýzy nákladové efektivity a dopad do rozpočtu díky uzavřeným smluvním ujednáním mezi žadatelem a zdravotními pojišťovnami příznivější, než jak uvádí upravená hodnotící zpráva Ústavu, nelze opominout vysoké náklady na léčbu hrazenou z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Ostatně v tomto duchu byl formulován i oponentní hlas při hlasování. Proto došel poradní orgán ke shodě, že vzhledem ke zjištění, že ve spise citovaná Červená kniha potřebné léčebné postupy k tomuto LPVO neobsahuje, je nutné Ministerstvu zdravotnictví doporučit, aby požádalo odbornou společnost o jejich dopracování. Protože posuzovaný LPVO je hrazeným lékem standardně až ve druhé linii, poradní orgán trvá na tom, aby byla v doporučených postupech přesně definována první linie léčby, která má nasazení a úhradě LPVO AYVAKYT předcházet, tedy byl popsán algoritmus indikace, zahájení a ukončení léčby při použití ostatních léčivých přípravků (zejména monoterapie midostaurinem či kladribinem) pro jednotný přístup zdravotních pojišťoven při posuzování žádostí o jejich úhradu (léčiva v monoterapii pro první linii terapie nejsou standardně hrazená, resp. jsou hrazená jen s předchozím souhlasem zdravotních pojišťoven). Poradní orgán je přesvědčen, že lze navázat na stanovisko odborné společnosti z letošního roku, s jehož zněním se seznámil ve spise (č.j. sukl35391/2024).

Souhlasný názor byl poradním orgánem vysloven přes několik opomenutí Ústavu, která byla publikována v upravené hodnotící zprávě, kdy délka léčby není 52 měsíce, ale 76 měsíců. Poradní orgán vzal rovněž na vědomí i informaci o dávkování, kdy 200 mg je maximální denní dávka LPVO pro pacienta, přičemž dávkování začíná na hodnotě 50 mg. Rovněž vzal na vědomí i informaci, že studie vedly k redukci dávky, přičemž nejčastěji podávané množství je buď 50 mg či 100 mg na pacienta a den.

Po seznámení se s doporučením poradního orgánu a všemi okolnostmi projednávaného případu se ministerstvo rozhodlo postupovat dle § 39da odst. 6 písm. a) zákona č. 48/1997 Sb., tedy souhlasit se stanovením úhrady ve výši a za podmínek uvedených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. sukl215964/2024 ze dne 27. 8. 2024.

K závěru, že zařazení LPVO AYVAKYT do systému úhrad z veřejného zdravotního pojištění je ve veřejném zájmu dle § 39da odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění dospělo

ministerstvo zejména s ohledem na závažnost život ohrožujícího onemocnění, které významně zkracuje délku života pacientů.

Ministerstvo se ztotožňuje s odůvodněním doporučení formulovaným poradním orgánem (viz výše) a konstatuje, že rovněž příznivé výsledky studií ukazují, že terapie LPVO AYVAKYT dokáže naplnit cíle léčby, a tedy indikovaným pacientům násobně prodloužit dobu dožití s potenciálem vyšší kvality života než stávající způsoby léčby.

Ministerstvo rovněž souhlasí s názorem poradního orgánu a žádá odbornou společnost, aby vzhledem ke vstupu LPVO AYVAKYT do systému úhrad navázala na své doporučení založené ve spise (č.j. sukl35391/2024) a zpracovala pro posuzovanou populaci pacientů české doporučené postupy v parametrech doporučených poradním orgánem. Doporučené postupy by měly zahrnovat i definici první linie léčby, která má nasazení a úhradě LPVO AYVAKYT předcházet. Tzn. popsat algoritmus indikace, zahájení a ukončení léčby při použití ostatních léčivých přípravků (zejména monoterapie midostaurinem či kladribinem) pro jednotný přístup zdravotních pojišťoven při posuzování žádostí o jejich úhradu, neboť léčiva v monoterapii pro první linii terapie jsou hrazená jen s předchozím souhlasem zdravotních pojišťoven.

P o u č e n í :

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

S

Elektronický podpis: 9.10.2024
Certifikát autora podpisu:
Jméno: Prof. MUDr. Vlastimil Válek, CSc. MBA
Vydal: PostSignum Qualified CA 4
Platnost do: 6.2.2025 13:05 +01:00