



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

Praha, (datum uvedeno v doložce e-podpisu)

Č. j.: MZDR 19027/2024-5/MIN/KAN



MZDRX01SRP4R

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
A16AX08	0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP
A16AX08	0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP

(dále jen „LPVO REVESTIVE“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS306216/2023,

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**“)

Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch, se sídlem Block 2 Miesian Plaza, 50–58 Baggot Street Lower, D02 HW68 Dublin 2, Irsko, IČ: 621464

Zastoupena: **Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o.,** se sídlem Škrétova 490/12, 120 00 Praha 2, IČ: 60469803 (dále též jen „**žadatel**“)

Česká lékařská společnost J.E. Purkyně,

se sídlem Sokolská 490/31, 120 00 Praha 2, IČ: 00444359 (dále též jen „**ČLS JEP**“)

(Česká pediatrická společnost, Česká gastroenterologická společnost, Společnost pro gastrointestinální onkologii, Česká společnost klinické výživy a intenzivní metabolické péče)

Česká asociace pro vzácná onemocnění z.s.,

se sídlem Bělohorská 269/19, Praha 6 - Břevnov, 169 00 Praha, IČ: 22748270

(dále též jen „**ČAVO**“)

Pacienti IBD z.s.,

se sídlem Bělohorská 269/19, Praha 6 - Břevnov, 169 00 Praha, IČ: 22748270

(dále též jen „**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 REVESTIVE z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. suk1172066/2024 ze dne 11. 7. 2024.

Odůvodnění:

Dne 11. 7. 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. SUKLS306216/2023 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na 31. 7. 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) REVESTIVE (obsahující léčivou látku teduglutid, TED) je určen k léčbě pacientů ve věku od 4 měsíců korigovaného gestačního věku se syndromem krátkého střeva.

Ze spisové dokumentace vedené pod sp. zn. SUKLS306216/2023 (dále jen „podklady ve spise“) vyplynulo, že dosavadní klinický program zahrnuje 1 klinickou studii fáze 3 STEPS, 2012, ve které je LPVO REVESTIVE v dávce 0,05 mg/kg/den srovnáván s placebem, resp. standardní léčbou zahrnující parenterální výživu nebo intravenózní podání tekutin při podání dospělým pacientům se SBS-CIF, tzn. chronickým střevním selháním spojeným se syndromem krátkého střeva (SBS). Primární cíl, tj. procento pacientů, kteří dosáhli 20–100 % redukce týdenního objemu PN/IV (parenterální výživa/intravenózní výživa) ve srovnání s baseline ve 20. týdnu a udrželi ho do 24 týdne, byl dosažen u 63 % pacientů v rameni TED oproti placebové skupině 30 % ($p=0,002$).

Poradní orgán byl informován, že TED byl dobře tolerován, jen 5 % pacientů v rameni TED mělo TEAEs (nežádoucí účinky související s léčbou) vedoucí k přerušení léčby ve srovnání se 7 % v rameni placebo. Na tuto základní studii následně navazovaly open-label extenze STEPS 2 a STEPS 3, které potvrdily, že dlouhodobá léčba (až 3,5 roku) je spojena s další redukcí příjmu PN a dosažením nezávislosti na PN bez nárůstu bezpečnostních rizik.

Mezi další důkazy ve spise patřil i pediatrický klinický program zahrnující 1 studii fáze 3 Kocoshis SA et al., 2019, hodnotící bezpečnost, farmakokinetiku a účinnost TED u pediatrických pacientů se SBS-CIF ve věku 1-17 let závislých na PN. Jednalo se o 24týdenní, dvojitě zaslepenou klinickou studii v ramenech s TED a nezaslepenou v rameni se standardní péčí. Primárním farmakodynamickým parametrem byl počet pacientů s $\geq 20\%$ snížením PN ve 24. týdnu. TED byl použit ve dvou režimech dávkování. Primárního cíle dosáhlo 54,2 % pacientů ve skupině s TED v dávce 0,025 mg/kg/den a 69,2 % pacientů ve skupině TED v dávce 0,05 mg/kg/den oproti 11,1 % při nejlepší podpůrné péči (BSC). 2 děti (8,3 %) ve skupině 0,025 mg/kg/den a 3 děti ve skupině 0,05 mg/kg/den TED (11,5 %) dosáhly enterální autonomie. TED byl obecně dobře tolerován, bezpečnostní profil byl podobný jako u dospělých pacientů. Nejčastějšími TEAEs byly horečka a zvracení.

Dále poradní orgán posoudil klinická data o účinnosti a bezpečnosti TED u pacientů ve věku od 4 měsíců korigovaného gestačního věku do 1 roku věku pocházející ze studie SHP633-301, ve které byl TED srovnáván s BSC. Primární cíl, tj. počet pacientů, kteří dosáhli alespoň 20 % snížení objemu PN normalizované na hmotnost na konci léčby/předčasného ukončení (EOT/ET) oproti baseline, byl dosažen u 3 pacientů v rameni TED (60 %) a u 1 pacienta v rameni BSC. Dlouhodobá účinnost a bezpečnost TED u této populace pacientů byla dále hodnocena v extenzi studie SPH633-301 a v extenzi další core studie zahrnující kojence v Japonsku. V těchto studiích byl zachován trend poklesu závislosti na PN a navyšování enterálního příjmu. Nebyla zjištěna žádná nová bezpečnostní rizika a celkový benefit/risk profit zůstal pro tuto pediatrickou populaci pozitivní.

Data z reálné klinické praxe např. z ČR, Německa a ze Slovenska potvrzují data z klinických studií a míru odpovědi kolem 60 a více %.

Z podkladů ve spise vyplynulo, že **syndrom krátkého střeva (SBS)** je vzácné onemocnění způsobené rozsáhlou chirurgickou resekcí tenkého střeva nebo vrozeným onemocněním tenkého střeva, které vede ke zkrácení délky střeva a zhoršení jeho absorpční funkce.

Následkem je výrazně snížené vstřebávání tekutin a živin a riziko rozvoje malnutrice. Pacienti s chronickým střevním selháním spojeným se SBS (SBS-CIF) zůstávají trvale závislí na parenterální podpoře (parenterální výživa a/nebo intravenózní podávání tekutin), aby si udrželi dostatečný příjem kalorií a rovnováhu tekutin, elektrolytů a mikroživin, a to navzdory adaptační reakci střeva, která nastává po resekci. Přestože PN poskytuje pacientům se SBS-CIF životně důležitou podporu, může být její dlouhodobé používání spojeno s potenciálně život ohrožujícími metabolickými komplikacemi, komplikacemi souvisejícími s centrálním žilním katetrem a sníženou kvalitou života nejen samotných pacientů, ale také jejich pečovateli. Negativní vliv SBS-CIF na kvalitu života potvrdila ve svém vyjádření jak Společnost klinické výživy a intenzivní metabolické péče (SKVIMP), tak patientská organizace. Data ze zahraničí dokládají negativní vliv SBS-CIF na dlouhodobé přežití.

V případě pediatrických pacientů může SBS-CIF vést ke zpomalenému růstu a opožděnému vývoji v důsledku nedostatečné výživy.

Dle dostupných doporučených postupů a odborného stanoviska SKVIMP ze dne 10. 1. 2024 je léčba TED přidávána ke standardní léčbě (samotná PN a symptomatická léčba BSC). Relevantním komparátorem je placebo (resp. BSC), zahrnující parenterální výživu a symptomatiku léčbu.

Z podkladů ve spise lze vyvodit, že ve srovnání s BSC přináší LPVO REVESTIVE vyšší přidanou hodnotou u cílové populace pacientů se SBS-CIF a v případě dostupnosti a úhrady bude preferovanou možností terapie. Důvodem je, že oproti standardní léčbě je léčivý přípravek REVESTIVE na základě klinických studií fáze III statisticky a klinicky významně účinnější.

V rámci hodnocení celospolečenského významu možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění byla posuzována zejména míra snížení závislosti na domácí parenterální výživě (HPN), a tím i snížení rizika zdravotních komplikací pramenících z dlouhodobé HPN a zlepšení kvality života nejen pacientů se SBS-CIF, ale také jejich pečovateli. Cílem léčby je snížit závislost na HPN nebo dosáhnout úplné nezávislosti na HPN, navýšit příjem nutričních substrátů a tekutin enterální cestou a zlepšit kvalitu života jak pacientů, tak pečovateli.

Prevalenci a incidenci SBS-CIF je obtížné určit z důvodů rozdílů v klinické klasifikaci a dostupnosti informací ve zdravotních databázích různých zemí. Odhady jsou proto často založeny na prevalenci užívání HPN, ale mezi jednotlivými zeměmi se značně liší.

V České republice je hlavním zdrojem epidemiologických dat o pacientech se SBS-CIF registr REDNUP, který shromažďuje data o pacientech na HPN a také o pacientech léčených LPVO REVESTIVE. Odborná společnost SKVIMP uvedla, že při zohlednění navrhovaných podmínek úhrady u cílové populace (SBS-CIF) odhaduje počet pacientů vhodných pro terapii TED na celkově 200–240 pacientů, přičemž je nezbytné zohlednit jejich postupné nasazování na léčbu v časovém průběhu. Incidence těchto pacientů se pohybuje kolem 50 pacientů ročně. Žadatel na základě dat z registru REDNUP při zohlednění navrhovaných podmínek úhrady uvádí počet pacientů vhodných k léčbě LPVO REVESTIVE na 235. Na základě dat o penetraci žadatel odhaduje počet nových pacientů každý rok na 15. V současné době je v registru REDNUP vedeno 24 dospělých a 9 dětských pacientů užívajících LPVO REVESTIVE.

Předložené klinické důkazy u populace pacientů navržené k úhradě posuzovaného léčivého přípravku prokazují, že pacienti léčení TED dosáhli oproti placebo snížení závislosti na HPN. Dle důkazů ve spise je možné předpokládat, že terapie TED přispěje ke snížení zdravotních komplikací u pacientů s SBS-CIF spojených s dlouhodobou HPN, zvýšení jejich kvality života a ke snížení zatížení zdravotního systému.

Při posuzování dopadu na systém sociálního zabezpečení pracoval poradní orgán s výsledky dotazníkového šetření, které žadatel zpracoval z dat od 31 pacientů. Poradní orgán vzal na vědomí i konstatování Ústavu v této věci, že kalkulace vycházející z předmětného socioekonomického průzkumu jsou zatíženy nejistotou z důvodu nízkého počtu zahrnutých respondentů, přičemž počet odpovědí v čase měl klesající trend a na poslední návštěvu se dostavil pouze jeden pacient. Vzhledem ke vzácnosti onemocnění (průzkum zahrnoval téměř všechny pacienty aktuálně léčené LPVO REVESTIVE, resp. jejich pečovatele) však Ústav tento zdroj považuje za akceptovatelný.

Dle důkazů ve spise vyplynulo, že studie CL0600-004 pomocí nástroje EQ-5D, SF-36 a IBDQ žádné zlepšení kvality života dospělých pacientů léčených TED neprokázala.

Další studie zaměřená na hodnocení kvality života STEPS pomocí nástroje SBS-QoL sice neprokázala statisticky významné rozdíly mezi skupinou užívající TED a skupinou užívající placebo po 24 týdnech léčby, ale bylo pozorováno statisticky významné zlepšení kvality života u pacientů užívajících TED v porovnání s baseline, a to v celkovém SBS-QoL skóre, v obou dílčích škálách a specificky v 9 ze 17 jednotlivých položek.

Kvalitu života pediatrických pacientů od 1 roku věku hodnotila studie SHP633-304 pomocí specifických dotazníků zaměřených na symptomy onemocnění. S ohledem na velmi nízký počet hodnocených pacientů nebylo možno zjištěné výsledky považovat za reprezentativní pro dětskou populaci. Údaje o kvalitě života pacientů od 4 do 12 měsíců věku nejsou k dispozici.

V ČR je LPVO REVESTIVE v indikaci SBS-CIF aktuálně hrazen v rámci druhé dočasné úhrady. Léčba těchto pacientů probíhá na 10 pracovištích pro dospělé pacienty a na 1 pracovišti pro pacienty pediatrické.

Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku REVESTIVE z perspektivy plátců zdravotního pojištění ve srovnání s komparátorem BSC odhaduje 53 až 113 léčených pacientů v 1.–5. roce a ukazuje výsledek ve výši 99,6 až 194,3 milionů Kč v prvních pěti letech. Celkové roční farmaceutické náklady na jednoho pacienta léčeného hodnocenou intervencí jsou 1 257 449 Kč pro pediatrickou populaci a 3 363 542 Kč pro dospělou populaci. Farmaceutické náklady na pacienta léčeného BSC uvažoval žadatel konzervativně 0 Kč. V analýze jsou zahrnuty i ostatní náklady v souladu s analýzou nákladové efektivity. Analýza dopadu na rozpočet z celospolečenské perspektivy ukazuje výsledek 97,4–190,1 mil. Kč v prvních pěti letech a z vládní perspektivy ukazuje výsledek 98,3–191,7 mil. Kč v prvních pěti letech.

Uvedené výsledky nezohledňují uzavřené finanční ujednání, s jehož obsahem byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství.

Poradní orgán vzal na vědomí podmínky úhrady, které Ústav stanovil v souladu s návrhem žadatele.

Cílová skupina pacientů, pro kterou je navrhována úhrada, je v souladu s populací pacientů, pro níž byla prokázána účinnost a bezpečnost TED v podkladové studii STEPS pro dospělou populaci, s klinickou studií Kocoshis SA et al., 2019 pro pediatrickou populaci od 1 roku věku a klinickou studií SHP633-301 pro pediatrickou populaci od 4 měsíců korigovaného gestačního věku a s registrovanou indikací i s použitím dle klinických doporučení. S návrhem podmínek úhrady dle žadatele vyslovila souhlas i odborná společnost SKVIMP ve svém podání ze dne 10. 1. 2024 (založeno ve spise pod č.j. sukl9843/2024), resp. ze dne 29. 2. 2024 (založeno ve spise pod č.j. sukl53417/2024).

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 navrhuje stanovit tyto podmínky úhrady:

S

***P:** Teduglutid je hrazen jako přídatná léčba k nepaliativní léčbě SBS-CIF (syndromu krátkého střeva-chronického střevního selhání):*

1. Dospělým pacientům splňujícím ESPEN kritéria intestinálního selhání definovaným podle Pironiho 2018, kdy adaptace střeva probíhá alespoň po dobu 6 měsíců, parenterální infuzní terapie je optimalizovaná a stabilizovaná a užívána alespoň 12 měsíců, minimálně 3 dny v týdnu a není již jiná možnost dosáhnout zlepšení funkce střeva.

Léčba teduglutidem je vždy hrazena u dospělých pacientů s manifestací nežádoucích účinků parenterální výživy:

- *progresivní hepatopatie F 3 a méně a/ nebo*
- *metabolická kostní choroba a/ nebo*
- *zbývají nejvíce 3 centrální žilní vstupy.*

U pacientů s Crohnovou nemocí musí být pacient při nasazení léčby v klinické remisi nejméně 12 týdnů.

2. Pediatrickým pacientům od 4 měsíců korigovaného gestačního věku, přičemž stav pacienta po operaci a parenterální infuzní terapii jsou stabilizované.

Léčba teduglutidem není hrazena u pacientů s aktivním maligním onemocněním nebo podezřením na malignitu a u pacientů s anamnézou výskytu maligního onemocnění GIT včetně hepatobiliárního systému a pankreatu v posledních pěti letech.

Léčba se ukončí kdykoliv z důvodu neakceptovatelné toxicity nebo pokud není dosaženo v průběhu 52 týdnů alespoň 20% redukce v objemu parenterální infuzní terapie. U pediatrických pacientů je pro užití uvedené podmínky redukce nezbytné zohlednění aktuální hmotnosti pacienta.

Poradní orgán vzal na vědomí Ústavem vypočítanou výši úhrady LPVO REVESTIVE.

Informativní přepočtení na maximální úhradu pro konečného spotřebitele (UHR) publikovanou v Seznamu cen a úhrad léčiv (SCAU) vycházející z nižší z hodnot jádrové úhrady za balení (JUHR) podle návrhu žadatele a stanoviska Ústavu:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR v SCAU (Kč)
0193528	REVESTIVE	5MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	351 116,61	351 116,61	402 076,58
0222233	REVESTIVE	1,25MG INJ PSO LQF 28+28X0,5ML ISP	87 779,15	87 779,15	100 519,14

Informativní přepočtení úhrady na hodnotu publikovanou v Seznamu cen a úhrad je provedeno dle vzorce „UHR LP = [JUHR LP x sazba + NÁPOČET / (počet ODTD v balení ref. LP / počet ODTD v balení LP)] x DPH“ ze stanoviska Ministerstva zdravotnictví č. j. MZDR73123/2011 vydaného dne 9. 11. 2011.

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

Poradní orgán shledal stanovení maximální ceny a výše podmínek úhrady LPVO REVESTIVE za souladné s veřejným zájmem a většinou hlasů doporučuje 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 plátcí (zdravotní pojišťovny), s jejichž výsledky, jak je uvedeno i výše, byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství. Poradní orgán může potvrdit, že výsledky finančních dohod a rovněž žadatelem deklarované budoucí uzavření smluv na limitaci nákladů mají pozitivní vliv jak na nákladovou efektivitu, tak na dopad do rozpočtu.

Poradní orgán rozhodl s vědomím toho, že u dospělé populace je i po započtení slev plynoucích z finančních ujednání mezi žadatelem a plátcí stále vysoká cena za QALY a neméně vysoká míra nejistoty. Při zdůvodnění hlasů proti zařazení do úhrady zazněl názor, že náklady na posuzovaný LPVO jsou nepřiměřeně vysoké a neodpovídají celospolečenskému přínosu. Negativně byl rovněž vnímán nestandardně krátký časový rámec pro posouzení a zpracování závazného stanoviska, z důvodu vypršení ORPHAN designace v posuzované indikaci za pouhých 36 dní od projednání. Poradní orgán rovněž zvažoval, zda by nebylo vhodnější, a to zejména vzhledem k vysoké heterogenitě pacientů, zachovat stav individuálního posuzování nasazení léčivého přípravku. V takovém případě by ale nedošlo k uplatnění domluvených slev, a to vč. zastropování celkových nákladů, kdy překročení domluvené výše hradí žadatel.

Důkazy ve spise přesvědčily většinu členů poradního orgánu, že LPVO REVESTIVE je funkční pro efektivní terapii indikovaného onemocnění. Poradní orgán rovněž v pozitivním doporučení, kromě výše uvedených částí, zahrnul i fakt, že léčba probíhá ve specializovaných centrech, kde je vysoká míra racionality v přístupu k aplikaci LPVO, a v neposlední řadě rovněž optimistický výhled do blízké budoucnosti, která může být v oblasti nákladové efektivity a dopadu do rozpočtu příznivě ovlivněna vstupem generických léčivých přípravků na trh.

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 suk1172066/2024 ze dne 11. 7. 2024.

K tomuto závěru ministerstvo dospělo zejména s ohledem na závažnost vzácného onemocnění, které je spojeno s trvalou závislostí na parentální podpoře spojenou s významně sníženou kvalitou života pacientů i jejich pečovateli, ale rovněž s potenciálně život ohrožujícími metabolickými komplikacemi a komplikacemi souvisejícími s centrálním žilním katetrem.

Ministerstvo se ztotožňuje s názorem poradního orgánu a kladně hodnotí i předložené důkazy, které prokázaly, že LPVO REVESTIVE je oproti standardní léčbě statisticky a klinicky významně účinnější. Pro pacienty je rovněž velmi dobré, že LPVO REVESTIVE je v indikaci SBS-CIF aktuálně hrazen v rámci druhé dočasné úhrady a s podáváním LPVO mají zkušenosti na deseti pracovištích pro dospělé a jednom pro pediatrické pacienty. V návaznosti na výhled do budoucna formulovaný poradním orgánem ministerstvo kladně hodnotí i fakt, že jsou k dispozici nejenom mezinárodní, ale i české doporučené postupy, v nichž je terapie TED uvedena.

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. Nezákoně 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

podepsáno elektronicky