



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

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

Č. j.: MZDR 30051/2024-5/MIN/KAN



MZDRX01UD521

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
A05AX05	0255135	BYLVAY	1200MCG CPS DUR 30, POR
A05AX05	0255132	BYLVAY	200MCG CPS DUR 30, POR
A05AX05	0255133	BYLVAY	400MCG CPS DUR 30, POR
A05AX05	0255134	BYLVAY	600MCG CPS DUR 30, POR

(dále jen „LPVO BYLVAY“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS253339/2023,

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**“)

Ipsen Pharma S.A.S., se sídlem 65, quai Georges Gorse, 921 00 Boulogne Billancourt,

Francouzská republika, IČ: 308197185

Zastoupena: **Ipsen Pharma s.r.o.**, se sídlem Olbrachtova 2006, 140 00 Praha 4,

IČ: 07099321 (dále též jen „**žadatel**“)

Česká lékařská společnost J.E. Purkyně,

se sídlem Sokolská 490/31, 120 00 Praha 2, IČ: 00444359 (Česká hepatologická společnost;

Česká pediatrická společnost) (dále též jen „**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. 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 BYLVAY z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. suk1295111/2024 ze dne 15. 11. 2024.

O d ů v o d n ě n í:

Dne 15. 11. 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. SUKLS253339/2023 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na 18. 12. 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) BYLVAY obsahující léčivou látku odevixibat je dle SmPC indikován k léčbě **progresivní familiární intrahepatální cholestázy (dále též „PFIC“)** u pacientů ve věku od 6 měsíců.

Ze spisové dokumentace vedené pod sp. zn. SUKLS253339/2023 (dále jen „podklady ve spise“) vyplynulo, že dosavadní klinický program zahrnuje jednu randomizovanou, dvojitě zaslepenou, multicentrickou klinickou studii fáze 3 (studie označená PEDFIC 1) a její otevřené pokračování (označeno PEDFIC 2). Ve studii PEDFIC 1 byl LPVO BYLVAY (přídavná terapie k nejlepší podpůrné léčbě) srovnáván s placebem (resp. nejlepší podpůrnou léčbou) a 24. týdenní léčba vedla ke statisticky signifikantnímu zlepšení pruritu – u 55 % pacientů léčených odevixibatem (průměr z obou sledovaných dávek odevixibatu)

oproti 30 % pacientů v rameni placebo ($p = 0,0038$), a ke snížení hladin žlučových kyselin v séru – 33 % pacientů léčených odevixibatem oproti 0 % v rameni placebo ($p = 0,003$). K dispozici jsou data z klinické praxe popisující použití odevixibatu u pacientů s PFIC jiných typů než 1 a 2, ze kterých vyplývá, že je léčba odevixibatem účinná, bezpečná a dobře tolerovaná.

Z podkladů ve spise vyplynulo, že **PFIC** je skupina vzácných heterogenních onemocnění, podmíněných autosomálně recesivně děděnými mutacemi v genech kódujících transport žlučových kyselin a fosfolipidů z hepatocytů do žluči. Jedná se o **onemocnění s individuálním průběhem**, které může mít od oligosymptomatického klinického obrazu až po rozvoj progredující jaterní fibrózy až cirhózy, choroba končí obvykle smrtí v důsledku jaterního selhávání v první, vzácněji v druhé dekádě života.

Onemocnění výrazně zkracuje délku života – pacienti se závažnou formou PFIC musí již v dětství, resp. i v batolecím věku, v zájmu přežití podstoupit transplantaci jater, nicméně jsou i pacienti, které onemocnění v délce života limituje méně nebo vůbec.

Data o mortalitě je možné čerpat z databáze NAPPED („The Natural course and Prognosis of PFIC and Effect of biliary Diversion“), která se věnuje přirozenému průběhu onemocnění PFIC a zátěži jím vyvolané. Tato databáze uvádí pre-transplantační mortalitu 9 % u pacientů s PFIC1 a 5 % u pacientů s PFIC2.

Z podkladů ve spise vyplynulo, že dle zahraničních klinických doporučení je standardem léčby odevixibat, který je jediným LP registrovaným pro léčbu PFIC. Ostatní léčebné postupy využívané v klinické praxi jsou off label (kyselina ursodeoxycholová, rifampicin, cholestyramin, antihistaminika, ataraktika).

Při posuzování možnosti nahraditelnosti LPVO jinými léčebnými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění vyplynulo, že české doporučené postupy pro terapii PFIC nebyly dosud publikovány.

Z dostupných doporučených postupů a stanoviska odborné společnosti ze dne 21. 12. 2023 (založeno ve spise pod č. j. suk1306977/2023) vyplývá, že relevantním **komparátorem v podmínkách klinické praxe v ČR je placebo, resp. nejlepší podpůrná terapie („best supportive care“ (BSC)**, v jejímž rámci jsou v ČR používány zejména ursodeoxycholová kyselina (UDCA), rifampicin a cholestyramin. **Odevixibat představuje add-on terapii k nejlepší podpůrné péči (BSC).**

Po prostudování důkazů ve spise vyplynulo, že oproti terapii BSC (na základě registrační studie Thompson, 2022) LPVO BYLVAY prokázal statisticky významně lepší účinnost a obdobnou bezpečnost.

Ve spise popsané rozdíly naznačují potenciál klinického významu v praxi a predikují, že posuzovaný přípravek bude, v případě dostupnosti a úhrady, v nejbližší době nejvíce preferovanou možností terapie u pacientů se závažnou formou PFIC.

Celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění spočívá ve snížení morbidity, oddálení doby do transplantace jater a zlepšení kvality života pacientů s PFIC.

Cílem terapie onemocnění je snížení pruritu, zlepšení nutričního stavu, korekce deficitu vitamínů, léčba komplikací souvisejících s pokročilým jaterním onemocněním a zpomalení poškození jater ve smyslu rozvoje fibrózy, cirhózy a jaterního selhávání.

Prevalence onemocnění v ČR není známa. Validní data o incidenci a prevalenci PFIC jsou dostupná ze zahraničí, odhadovaná incidence PFIC se předpokládá 1: 50 000–100 000 živě narozených, přesná prevalence onemocnění není známa.

Žadatel odhaduje počet konstantně léčených pacientů s PFIC v prvních pěti letech na 2–6. ČPS ve svém vyjádření ze dne 24. 6. 2024 odhaduje počet pacientů v blízkém horizontu na 8.

ČPS ve svém vyjádření ze dne 21. 12. 2023 (založeno ve spise pod č. j. sukI306977/2023) i ze dne 24. 6. 2024 odhaduje počet pacientů na maximálně jednoho nového pacienta s PFIC za rok.

Klinické důkazy k posuzovanému LPVO prokazují, že pacienti ve skupině s odevixibatem dosáhli oproti placebo zlepšení jak symptomatické odpovědi (snížení pruritu), tak zlepšení laboratorního ukazatele (snížení sérové hladiny žlučových kyselin). S odkazem na dostupná klinická data je možné předpokládat, že terapie odevixibatem přispěje k oddálení doby do transplantace jater, ke snížení zdravotních komplikací u pacientů s PFIC, zvýšení jejich kvality života, zlepšení pracovní produktivity pečovatelů a ke snížení zatížení zdravotního systému.

Zahraniční podklady uvádí, že pacienti s PFIC jsou zatíženi zvýšenou mírou morbidity a využíváním zdravotní péče.

Data o sociálním a ekonomickém dopadu onemocnění PFIC na pacienty a jejich pečovatele v současné době nejsou v ČR k dispozici, a proto není možné validně odhadnout a posoudit dopad na systém sociálního zabezpečení.

Dopad terapie posuzovaným LP BYLVAY na systém sociálního zabezpečení v ČR nelze rovněž definovat, protože nejsou k dispozici relevantní data (výše sociálních dávek apod.). Žadatel uvádí, že se mu vzhledem k nízké prevalenci a incidenci PFIC v České republice nepodařilo získat dostatečné informace o vládních nákladech tak, aby bylo možné namodelovat scénář z vládní perspektivy.

PFIC je velmi vzácné onemocnění, má individuální průběh, od epizodicky probíhajících forem až po rychle progredující formy, které vedou k jaternímu selhání. V zahraničí byla publikována studie analyzující dopad tohoto onemocnění na pracovní produktivitu pečovatelů – jedná se o studii PICTURE – kterou žadatel použil pro modelaci scénáře z celospolečenské perspektivy. Na základě práce Hansen lze předpokládat, že v dlouhodobém horizontu může odevixibat prodloužit dobu do transplantace jater, resp. do chirurgického zákroku (biliární diverze).

Při posuzování prokazatelného přínosu na zlepšení kvality života pacienta byl poradní orgán seznámen s podkladovou studií Thompson et al., 2022, ve které byl hodnocen vliv odevixibatu na kvalitu života pacientů s PFIC pomocí obecné škály (PedsQL) pro hodnocení kvality života. Pacienti léčení odevixibatem reportovali časně zlepšení příznaků ve srovnání s pacienty, kteří byli v placebovém rameni. U pacientů léčených odevixibatem bylo pozorováno zlepšení všech 4 domén dotazníku PedsQL, a to v oblasti fyzické, emocionální, sociální a v oblasti školního fungování.

Vzhledem k tomu, že výsledky týkající se dopadu léčby na kvalitu života nebyly statisticky vyhodnocené, nelze mít jednoznačně prokázané, že LPVO vede ke zlepšení kvality života

pacienta v časovém horizontu podkladové studie (24 týdnů). Nicméně s ohledem na chronickou povahu onemocnění a jeho projevy (zejména výrazný pruritus ovlivňující soustředění, spánek, denní aktivity) v hodnotící zprávě Ústav předpokládá, že odevixibat bude mít na kvalitu života pacientů pozitivní vliv.

Poradní orgán byl Ústavem informován, že terapie LPVO BYLVAY by se uskutečňovala u pacientů léčených v rámci vysoce specializované péče pro vzácná jaterní onemocnění, které je součástí Evropské referenční sítě pro vzácná jaterní onemocnění (ERN RARE-LIVER) při Fakultní nemocnici v Motole. Ve stejném centru se léčí převážná většina pacientů s onemocněním PFIC. Druhé centrum vysoce specializované péče pro vzácná jaterní onemocnění v Institutu klinické a experimentální medicíny (IKEM) by nadále sloužilo především pro transplantace jater.

Při prostudování výsledků analýzy nákladové efektivity bylo zjištěno, že na základě modelace v celoživotním horizontu v základním scénáři se inkrementální benefit jeví 3,08 QALY se zohledněním disutilit pečovatелů a 2,77 QALY bez zohlednění kvality života pečovatелů ve srovnání s BSC. Inkrementální náklady se jeví 63 124 163 Kč ve srovnání s BSC. Inkrementální poměr nákladů a přínosů je z perspektivy plátce a zohlednění disutilit pečovatele poté 20,5 mil. Kč/QALY a bez zohlednění disutilit pečovatele 22,8 mil. Kč/QALY. V případě celospolečenské perspektivy jsou pak inkrementální náklady 62 979 370 Kč. Analýza z perspektivy vládní nebyla předložena. Uvedené výsledky nezohledňují uzavřená finanční ujednání u léčivého přípravku BYLVAY, s nimž byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství. Při jejich zohlednění jsou výsledky příznivější.

Při posouzení analýzy dopadu na rozpočet bylo zjištěno, že předložené analýzy dopadu na rozpočet vyhovují standardům Ústavu, resp. metodice SP-CAU-27. Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku BYLVAY z perspektivy plátců zdravotního pojištění ve srovnání s komparátorem BSC odhaduje 8 až 12 léčených pacientů v 1.-5. roce a ukazuje výsledek ve výši 29,1 až 33,4 milionů Kč v prvních pěti letech.

Celkové průměrné roční náklady na jednoho pacienta léčeného LP BYLVAY jsou 3 279 738 Kč při zahájení léčby v 1. roce analýzy (prevalenční pacienti) a 1 722 539 Kč při zahájení léčby od 2. roku analýzy (incidenční pacienti).

Celkové průměrné roční náklady na jednoho pacienta léčeného BSC jsou 123 261 Kč při zahájení léčby v 1. roce analýzy (prevalenční pacienti) a 119 712 Kč při zahájení léčby od 2. roku analýzy (incidenční pacienti). Aktualizovanou analýzu dopadu na rozpočet z celospolečenské perspektivy se zohledněním velikosti populace (8 až 12 pacientů v 1. až 5. roce) a počátečního věku pacientů vhodných k léčbě v 1. roce (7 let) dle stanoviska ČPS z 24. 6. 2024 žadatel nepředložil. Analýza z perspektivy vládní nebyla předložena. Uvedené výsledky nezohledňují uzavřená finanční ujednání u léčivého přípravku BYLVAY. Při jejich zohlednění jsou výsledky příznivější.

Při posuzování podmínek úhrady z prostředků zdravotního pojištění posuzoval poradní orgán návrh Ústavu, který stanovil indikační omezení v souladu s návrhem žadatele. Cílová skupina pacientů, pro kterou je navrhována úhrada, je v souladu s populací pacientů, pro niž byla prokázána účinnost a bezpečnost odevixibatu v podkladových studiích PEDFIC 1 a PEDFIC 2, s registrovanou indikací i s použitím dle klinických doporučení. Ústav v textu indikačního omezení uvedl v souladu s návrhem žadatele kritérium pro ukončení léčby

odevixibatem, které jsou v souladu s doporučenými postupy a SmPC. Rovněž byl v režimu obchodního tajemství seznámen o existenci ujednání mezi žadatelem a pojišťovny.

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: *Odevixibat je hrazen k léčbě geneticky potvrzené progresivní familiární intrahepatální cholestázy (PFIC) všech typů u pacientů ve věku od 6 měsíců s hmotností alespoň 5 kg. V případě nedostatečné odpovědi na léčbu po 6 měsících každodenního užívání je léčba odevixibatem ukončena.*

Po posouzení předložených podkladů a následné rozpravě poradní orgán shledal stanovení maximální ceny a podmínek úhrady LPVO BYLVAY za souladné s veřejným zájmem a většinou hlasů doporučil ministerstvu vyslovit souhlas se stanovením úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění ve výši uvedené v upravené hodnotící zprávě Ústavu, avšak za jiných podmínek s tím, že bude postupováno v souladu s dohodou mezi žadatelem (držitel rozhodnutí o registraci) a plátcí (zdravotní pojišťovny).

Změna podmínek úhrady v návrhu poradního orgánu spočívá ve změně indikačních kritérií, resp. v jejich zúžení, a to pro pacienty s těžkým pruritem (jinými léčivými neovladatelným), resp. vysokou sérovou hladinou žlučových kyselin, a nakonec jen pro pacienty, u kterých lze očekávat takový průběh onemocnění, že budou s velkou pravděpodobností vyžadovat transplantaci jater.

Podmínky úhrady, tedy úpravu indikačních kritérií, poradní orgán navrhl v následujícím znění:

S

P: *Odevixibat je hrazen k léčbě závažných klinických příznaků v důsledku vysoké hladiny žlučových kyselin ($sBA \geq 100 \mu\text{mol/l}$) u geneticky potvrzené progresivní familiární intrahepatální cholestázy (PFIC), a to pouze typu 1 a 2,*

- *u dětských pacientů ve věku od 6 měsíců s hmotností alespoň 5 kg s těžkým pruritem refrakterním na léčbu jinými léčivými přípravky;*
- *u dospělých pacientů se závažnými klinickými příznaky do 2. linie léčby po selhání předchozí léčby, u které nedošlo k efektu do 6 měsíců od nasazení.*

U dětských i dospělých pacientů v případě nedostatečné odpovědi na léčbu po 6 měsících každodenního užívání, či při zjevné non-compliance pacienta (zákonného zástupce) s terapií (cokoli nastane dříve), není léčba odevixibatem dále hrazena.

Poradní orgán rozhodl s vědomím toho, že dle návrhu Ústavu se jedná o LPVO první linie léčby s indikací genetického onemocnění, což je při tak vysoké ceně příliš široká indikace, která odpovídá nutnosti individuálního posouzení tak, jak to lépe umožňuje řízení dle § 16. Současně poradní orgán poukazoval na řadu nejistot v řízení. Například na relativně omezený celkový počet pacientů, který tak neumožňuje přesnější vyhodnocení celkové doby přežití, chybějící klinické studie, neprokázání vlivu LPVO na kvalitu života, nevyčíslení dopadu do systému sociálního zabezpečení apod.

LPVO není nákladově efektivní, a to i přes uzavřená smluvní ujednání se zdravotními pojišťovny, s jejichž výsledky byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství. Hodnota ICER (Kč/QALY) reflektuje enormní náklady, které jsou spojené s nejistým výhledem na prodloužení života vlivem posuzovaného LPVO. Proto je dle názoru většiny členů poradního orgánu ve veřejném zájmu vyvážit vysokou míru nejistoty zpřesněním indikačních kritérií.

Má-li být LPVO s ohledem na celospolečenský význam zařazen do systému úhrad z veřejného zdravotního pojištění, mělo by být toto zařazení, dle názoru většiny členů poradního orgánu, doprovázeno zúžením indikačních kritérií tak, aby byl reflektován stav různého stupně závažnosti onemocnění u pacientů, jako i faktor „podávání léku do doby transplantace jater“, který v přeloženém návrhu podmínek úhrady chyběl.

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. suk1295111/2024 ze dne 15. 11. 2024, ani za podmínek navržených poradním orgánem.

Ministerstvo chápe doporučení poradního orgánu (viz výše) i dilema, které se členové pokusili vyřešit prostřednictvím zúžení indikačních kritérií.

Vzhledem k zásadním zjištěním, která se týkají omezeného počtu pacientů, z čehož dále plyne, že prodloužení doby přežití s geneticky potvrzenou dg. PFIC je pouze orientační, resp. že vliv léčiva na dobu přežití nebo oddálení transplantace je nejistý a nelze ho blíže specifikovat, rozhodlo s péčí řádného hospodáře, že optimální bude zachovat posouzení vhodnosti léčby prostřednictvím individuální žádosti dle § 16 zákona.

Ministerstvo přihlédlo k faktoru „podávání léku do transplantace“ a rovněž ke skutečnosti, že ve studii není diferencován vliv léčiva dle stupně závažnosti předmětného onemocnění, celkového zdravotního stavu a stavu jaterních funkcí, přičemž některé zahraniční HTA agentury LPVO schválily pouze pro PFIC 1 a 2 a některé dokonce jen do druhé linie léčby jako add-on terapie. Při posouzení veřejného zájmu bralo ministerstvo ohled na fakt, že data o bezpečnosti a účinnosti jsou tak s ohledem na výše uvedené, zejména počty pacientů ve studii, limitovaná. Chybí data pro starší pacienty a pro pacienty, u kterých nedojde k transplantaci jater, dále chybí data pro použití léčiva a jeho účinku u pacientů s úvodním těžkým poškozením jater. Vzhledem k těmto okolnostem nelze aktuálně bez dalšího tvrdit, že díky posuzovanému LPVO dojde k prodloužení života, resp. ke snížení rizika mortality.

Ministerstvo se ztotožňuje s názorem poradního orgánu v závěrech, že tvrzení o zkrácení života nebylo důkazy ve spise dostatečně klinicky potvrzeno, neboť v určité fázi vývoje nemoci má dojít, je-li nalezen dárce a pacient je výkonu schopen, k transplantaci jater. Míra nejistoty byla při posuzování důkazů vysoká.

Doporučení indikačních omezení vnímá jako vhodné, avšak pro použití při posuzování individuálních žádostí dle § 16.

Ministerstvo vnímá všechny popsané limitace, které mu brání s úhradou souhlasit. Jako již v několika projednávaných případech v minulosti, i nyní je na místě připomenout, že s odpovědností za zajištění zdravotních služeb pro všechny pojištěnce v České republice je

ministerstvo toho názoru, že je nutné postupovat se větší 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