



# SOUHRNNÁ ZPRÁVA

## PORADNÍHO ORGÁNU PRO ÚHRADU LÉČIV URČENÝCH K LÉČBĚ VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ

*Vyhodnocení aplikační praxe  
(v období od května 2022 – do března 2025)*

odbor Kanceláře ministra  
Praha, 6. března 2025





---

**Copyright © 2025 Ministerstvo zdravotnictví ČR. Všechna práva vyhrazena.**

Tento dokument je chráněn autorským právem a nesmí být reprodukován, distribuován ani jinak používán bez předchozího písemného souhlasu Ministerstva zdravotnictví ČR. Veškeré informace obsažené v této výroční zprávě jsou určeny výhradně pro informativní účely a nesmí být použity k jiným účelům bez výslovného povolení.

*Foto: archiv Ministerstva zdravotnictví a M. Váchy*

---



## *Vážené kolegyně, vážení kolegové,*

*s potěšením vám předkládám souhrnnou zprávu o činnosti poradního orgánu pro úhradu léčiv určených k léčbě vzácných onemocnění za první tříleté funkční období. Tento orgán hraje klíčovou roli v zajišťování dostupnosti inovativních a účinných léčiv pro pacienty, kteří trpí vzácnými onemocněními, a tím se podílí na zlepšení kvality jejich života.*

*Práce členů poradního orgánu není snadná. V rámci posuzování vyžaduje hluboké porozumění onemocnění, posouzení přínosů léčivého přípravku na základě často omezených dat a zhodnocení jejich vlivu nejen na samotné onemocnění, ale i na pacientovo okolí, zejména včetně neformálních pečovatелů a systému sociální péče.*

*Díky úsilí a odbornosti našich členů se podařilo posoudit více než 30 žádostí a doporučit schválení úhrady řady léčivých přípravků, které přinášejí nové možnosti léčby pro pacienty s těmito vzácnými diagnózami.*

*Činnost poradního orgánu by nebyla možná bez úzké spolupráce se zdravotními pojišťovnami, odbornými společnostmi a pacientskými organizacemi. Společně nastavujeme systém, který je schopen efektivně reagovat na potřeby pacientů a zajistit, aby se k nim dostala ta nejlepší možná péče.*

*Děkuji všem členům poradního orgánu za jejich neúnavnou práci a oddanost. Vaše úsilí a odborné znalosti jsou neocenitelné a přispívají k tomu, že Česká republika je na špičce v poskytování péče pacientům se vzácnými onemocněními.*

*S úctou,*

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



## Vážení čtenáři,

*byl jsem poctěn důvěrou, abych v roli předsedy započal práce poradního orgánu bezprostředně po jeho ustavení. Po třech letech mohu říct s jistotou, že existence poradního orgánu je krok správným směrem. Každý z členů tak dává do výsledné diskuse svou expertizu, svůj úhel pohledu. Za tři roku zkušeností mohu s radostí konstatovat, že snahou všech členů, bez ohledu na to, za jakou výše uvedenou skupinu hlasují, bylo rozhodování dle svého svědomí a v zájmu pacientů.*

*Zdravotnictví je vždy průsečíkem mezi tím, co chceme a co technicky umíme, a tím, co si můžeme dovolit z finančních důvodů, a co přinese prospěch pacientovi.*

*Tento poslední bod je netriviální: mnohé námi posuzované léky se jeví jako nadějně, avšak za prvé bez robustní statistické podpory dané situací: pro vzácná onemocnění je z definice obvykle velmi obtížné vytvořit studii se statisticky významným vzorkem pacientů. Za druhé, řada léků je natolik nová, že v daném datu setkání poradního orgánu doposud neexistují a ani existovat nemohou studie posuzující stav pacientů po měsících či letech. K tomu je třeba připočítat většinou extrémně vysokou cenu léků danou malým počtem pacientů s danou nemocí.*

*Výzvu jsme tedy všichni členové poradního orgánu přijali s vědomím odpovědnosti, která nás takřka v každém posuzování nového léku vede k hlubšímu zamyšlení nad naším posláním a hodnotami. Chci vás ubezpečit, že jsme se jako poradní orgán ministra vždy snažili do rozhodování přinášet nejenom odbornou expertizu, ale i empatii a širší perspektivu posuzování inovativních řešení. Věřím, že výsledky našich rozhodování budete soudit objektivně a s pochopením pro celkový kontext potřeb zdravotní péče. I nadále pokusíme v poradním orgánu snažit naslouchat různým názorům všech zainteresovaných stran a hledat společnou řeč, která by nás všechny propojovala se zřetelem na prospěch pacienta – salus aegroti suprema lex.*

*Děkuji všem členům poradního orgánu za jejich neúnavnou práci, kultivovaný dialog a konstruktivní atmosféru našich jednání.*

S úctou,

*Mgr. et Mgr. Marek Vácha, Ph.D.  
předseda poradního orgánu ORPHANY*





## Obsah

ÚVOD .....	5
PO ORPHANY V DATECH .....	7
KLÍČOVÉ POZNATKY Z PRAXE PORADNÍHO ORGÁNU .....	12
ZÁVĚR.....	15





## ÚVOD

Poradní orgán pro úhradu léčiv určených k léčbě vzácných onemocnění (dále též PO)<sup>1</sup> byl zřízen za účelem **zabezpečení vytvoření odůvodněného podkladu pro závazné stanovisko a posouzení veřejného zájmu** podle § 17 odst. 2 zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, v platném znění (dále jen „zákon“ či „zákon o veřejném zdravotním pojištění“) **na stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění ve smyslu ustanovení § 39da zákona.**

Správní řízení podle §39da zákona o veřejném zdravotním pojištění, jak zní oficiální název řízení pro vyhodnocení a stanovení úhrady specificky pro léky na vzácná onemocnění, zavedlo do praxe rozdělení procesu schvalování do dvou fází. První fází je hodnocení, které zajišťuje Státní ústav pro kontrolu léčiv (dále též SÚKL či Ústav), a posuzování, jež je v gesci Ministerstva zdravotnictví.

Právě v Ministerstvu zdravotnictví funguje pro účely výše uvedeného řízení s účinností ode dne 4. listopadu 2021 nový poradní orgán ministra. Členy poradního orgánu jmenuje a odvolává ministr zdravotnictví ze zástupců státu, zdravotních pojišťoven, odborných společností a pacientských organizací.

Zástupce státu navrhuje ministerstvo, zástupce odborných společností vedení České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně (dále též ČLS JEP), zástupce pacientských organizací Pacientská rada<sup>2</sup> a zástupce zdravotních pojišťoven vedení Všeobecné zdravotní pojišťovny (dále též VZP) a vedení Svazu zdravotních pojišťoven (dále též SZP). Všichni členové poradního orgánu podepisují prohlášení o zamezení střetu zájmů.

Jmenovací dekrety ministra stanovily tříletý mandát prvnímu plénu zástupců jednotlivých sektorů, z nich na konkrétní jednání byli z pléna vždy nominováni dva zástupci státu, dva zástupci odborných společností, dva zástupci zdravotních pojišťoven (vždy jeden ze SZP a jeden z VZP) a dva zástupci pacientských organizací.

Scénář ústního projednání poradním orgánem je následující. Na úvodní části projednání jsou přizváni zástupci Ústavu (zpravodajové), kteří shrnou dosavadní průběh řízení (shromážděné důkazy, reakce účastníků řízení apod.) a odpovídají na dotazy členů PO. Po nich mají prostor zástupci držitele rozhodnutí o registraci (dále též MAH) a/nebo žadatelé (mohou to být zdravotní pojišťovny), kteří prezentují zdůvodnění vhodnosti určení výše a podmínek úhrady a odpovídají na dotazy členů PO. Poté zpravodajové i zástupci MAH jednání opouštějí a probíhá rozprava s projednáním všech okolností daného případu v souladu se zněním § 39da.

<sup>1</sup> [Portál poradních orgánů, pracovních skupin a odborných komisí Ministerstva zdravotnictví](#)

<sup>2</sup> [Aktuality – Portál pro pacienty a pacientské organizace](#)

**V řízení o stanovení výše a podmínek úhrady se u léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění posuzují:**

- 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](#).

**V souladu s § 39da může PO postupovat následujícím způsobem:**

- a) PO doporučí úhradu stanovit ve výši a za podmínek uvedených v hodnotící zprávě Ústavu
- b) PO doporučí stanovit úhradu v jiné výši nebo za jiných podmínek, než uvádí hodnotící zpráva Ústavu  
V takovém případě je žadatel po vydání závazného stanoviska vyzván Ústavem k vyjádření. Souhlasí-li s novou výší/podmínkami, úhrada bude stanovena v nové výši/s novými podmínkami. Pokud žadatel nesouhlasí s novou výší/podmínkami, úhrada nebude stanovena
- c) PO nedoporučí úhradu stanovit  
Po vydání negativního závazného stanoviska ministra zdravotnictví nemůže (dle § 39da odst. 9) žadatel dalších 6 měsíců od pravomocného ukončení správního řízení podat ve stejné věci novou žádost.



## PO ORPHANY V DATECH

### 2022

- Nový paragraf 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění vstoupil v účinnost.
- V srpnu 2022 se uskutečnilo historicky první ústní projednání PO k léčivému přípravku **SPINRAZA** pro léčbu spinální svalové atrofie (SMA). Na základě doporučení PO vydalo ministerstvo souhlasné závazné stanovisko.

### 2023

Během roku 2023 byla uskutečněna projednání níže uvedených léčivých přípravků:

- **ASPAVELI** indikován k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie (PNH).  
PO doporučil stanovení úhrady, ale za jiných podmínek, než navrhoval Ústav. Ministerstvo vydalo negativní závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **ONIVYDE PEGYLATED LIPOSOMAL** indikován k léčbě pacientů s metastazujícím adenokarcinomem pankreatu, kteří progredovali na léčbě založené na gemcitabinu.  
PO doporučil stanovení úhrady dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **TREPULMIX** indikován k léčbě dospělých pacientů se srdečním selháním s funkční třídou NYHA III nebo IV dle klasifikace WHO s inoperabilní chronickou tromboembolickou plicní hypertenzí (CTEPH) nebo perzistentní či rekurentní CTEPH po chirurgické léčbě.  
PO jednomyslně doporučil stanovení úhrady. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **VYNDAQEL** indikován k léčbě dědičné transthyretinové amyloidózy nebo transthyretinové amyloidózy divokého typu u dospělých pacientů s kardiomyopatií (ATTR-CM).  
PO doporučil stanovení úhrady za jiných podmínek. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **EVRYSDI** indikován k léčbě spinální svalové atrofie vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu (SMA).  
PO doporučil stanovení úhrady za jiných podmínek, než navrhoval Ústav. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **VOXZOGO** indikován k léčbě achondroplazie u pacientů starších 2 let, jejichž epifýzy nejsou uzavřené.  
PO doporučil stanovit úhradu za podmínek navržených Ústavem, avšak v jiné výši. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.





- **KIMMTRAK** indikován v monoterapii k léčbě dospělých pacientů s neresekovatelným nebo metastatickým uveálním melanomem s pozitivním lidským leukocytárním antigenem (HLA)-A\*02:01 a se stavem výkonnosti 0-1 dle ECOG, kteří doposud nebyli léčeni systémovou protinádorovou léčbou pro neresekovatelné nebo metastatické onemocnění. PO nedoporučil úhradu stanovit. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **KOSELUGO** indikován k léčbě pacientů ve věku od 3 do 18 let se stabilní i progresivní neurofibromatózou 1. typu, kteří mají neoperovatelný plexiformní neurofibrom.  
PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **CRYSVITA** indikován k léčbě X-vázané hypofosfatemie (dále též „XLH“) u dětí a dospívajících ve věku od 1 do 17 let s rentgenograficky prokázanou nemocí kostí a u dospělých.  
PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **FINTEPLA** indikován k léčbě epileptických záchvatů spojených se syndromem Dravetové jako přídatná terapie k dalším antiepileptikům u pacientů od 2 let.  
PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **ADCETRIS** indikován k léčbě dospělých pacientů s CD30+ Hodgkinovým lymfomem při zvýšeném riziku relapsu nebo progresu po autologní transplantaci kmenových buněk.  
PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **TAKHZYRO** indikován k rutinní prevenci rekurentních atak hereditárního angioedému (dále jen „HAE“) u pacientů ve věku 12 let a starších.  
PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.
- **KIMMTRAK** indikován v monoterapii k léčbě dospělých pacientů s neresekovatelným nebo metastatickým uveálním melanomem s pozitivním lidským leukocytárním antigenem (HLA)-A\*02:01 a se stavem výkonnosti 0-1 dle ECOG, kteří doposud nebyli léčeni systémovou protinádorovou léčbou pro neresekovatelné nebo metastatické onemocnění.  
PO nedoporučil úhradu stanovit. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO<sup>3</sup>.

---

<sup>3</sup> Druhé projednání stejného podání na základě rozhodnutí Rozkladové komise MZD.



- **KAFTRIO** indikován v kombinovaném režimu s ivakaftorem k léčbě cystické fibrózy u pacientů ve věku od 6 let, kteří mají alespoň jednu mutaci F508del v genu pro transmembránový regulátor vodivosti (CFTR).

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **CABLIVI** indikován k léčbě dospělých a dospívajících ve věku od 12 let a starších s tělesnou hmotností alespoň 40 kg s epizodou získané trombotické trombocytopenické purpury (aTTP) ve spojení s výměnou plazmy (TPE) a imunosupresí, které se projevuje snížením počtu krevních destiček, hemolytickou anémií a poškozením orgánů.

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

## 2024

Během roku 2024 byla uskutečněna projednání níže uvedených léčivých přípravků:

- **EPIDIOLEX** indikován k adjuvantní léčbě epileptických záchvatů spojených s Lennox-Gastautovým syndromem (LGS), syndromem Dravetové (SD) a komplexem tuberózní sklerózy (TSC) u pacientů ve věku 2 let a starších.

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **COLUMVI** indikován v monoterapii k léčbě dospělých pacientů s relabujícím nebo refrakterním difúzním velkobuněčným B-lymfomem (DLBCL) po nejméně dvou liniích systémové léčby.

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **KINPEYGO** indikován k léčbě primární IgA (imunoglobulin A) nefropatie (IgAN) u dospělých s rizikem rychlé progresy onemocnění s poměrem proteinu a kreatininu v moči  $\geq 1,5$  g/gram.

PO doporučil úhradu stanovit dle návrhu Ústavu. Ministerstvo se od doporučení odchýlilo a vydalo negativní závazné stanovisko.

- **REVESTIVE** indikován k léčbě pacientů ve věku od 4 měsíců korigovaného gestačního věku se syndromem krátkého střeva.

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **SOLIRIS** indikován v léčbě refrakterní generalizované myastenia gravis (dále jen „MG“ nebo „gMG“) u dospělých pacientů, u kterých jsou přítomny protilátky proti receptoru pro acetylcholin.



PO doporučil úhradu stanovit dle návrhu Ústavu. Ministerstvo se od doporučení odchýlilo a vydalo negativní závazné stanovisko.

- **VYVGART** indikován k léčbě generalizované myastenia gravis u dospělých pacientů, u kterých jsou přítomny protilátky proti receptoru pro acetylcholin.

PO doporučil úhradu stanovit dle návrhu Ústavu. Ministerstvo se od doporučení odchýlilo a vydalo negativní závazné stanovisko.

- **LIVTENCITY** indikován k léčbě cytomegalovirové (CMV) infekce a/nebo onemocnění, které jsou refrakterní (s rezistencí nebo bez ní) na jednu nebo více předchozích terapií, jež zahrnovaly ganciklovir, valganciklovir, cidofovir nebo foskarnet u dospělých pacientů, kteří podstoupili transplantaci hematopoetických kmenových buněk (HSCT) nebo transplantaci solidních orgánů (SOT). V podmínkách úhrady je navrhováno stanovení úhrady rovněž pro situaci „v případě, kdy léčbu první volby nelze použít“, která není uvedena v platném SmPC (off label indikace).

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **AYVAKYT** indikován k léčbě dospělých pacientů s agresivní systémovou mastocytózou, systémovou mastocytózou s přidruženým hematologickým novotvarem nebo mastocytární leukémií po nejméně jedné systémové léčbě.

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **HEPCLUDEX** indikován k léčbě infekce virem hepatitidy delta u dospělých pacientů s kompenzovaným onemocněním jater.

PO doporučil úhradu stanovit ve výši a za podmínek dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **AMVUTTRA** indikován k léčbě hereditární transthyretinové amyloidózy u dospělých pacientů s polyneuropatií v 1. či 2. stadiu. PO nedoporučil úhradu stanovit. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **ISTURISA** indikován k léčbě endogenního Cushingova syndromu u dospělých pacientů.

PO nedoporučil úhradu stanovit. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **BYLVAY** indikován k léčbě progresivní familiární intrahepatální cholestázy (dále též „PFIC“) u pacientů ve věku od 6 měsíců.

PO doporučil úhradu stanovit za jiných podmínek, než uvádí hodnotící zpráva Ústavu. Ministerstvo se od doporučení odchýlilo a vydalo negativní závazné stanovisko.



## 2025

Během roku 2025 byla zatím uskutečněna projednání níže uvedených léčivých přípravků<sup>4</sup>:

- **FINTEPLA** indikován k léčbě epileptických záchvatů spojených se syndromem Dravetové a Lennoxovým-Gastautovým syndromem jako přídatná terapie k dalším antiepileptikům u pacientů od 2 let.

PO doporučil úhradu stanovit dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **ASPAVELI** indikován k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie (PNH) u dospělých pacientů, kteří mají hemolytickou anemii.

PO doporučil úhradu stanovit dle návrhu Ústavu. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

- **SKYCLARYS** indikován k léčbě Friedreichovy ataxie (FRDA) u dospělých a dospívajících ve věku od 16 let.

PO většinou hlasů nedoporučil úhradu stanovit. Ministerstvo vydalo závazné stanovisko v souladu s doporučením PO.

---

<sup>4</sup> Stav do vydání Souhrnné zprávy



## KLÍČOVÉ POZNATKY Z PRAXE PORADNÍHO ORGÁNU

Jednou z **prvních problematických oblastí** identifikovanou členy poradního orgánu v rámci předmětného hodnocení, byla **absence hodnocení nákladové efektivity s komparací ostatních léčivých přípravků používaných v dané diagnóze**. V závazném stanovisku formulovali členové PO požadavek, aby každá žádost o úhradu LPVO, u kterého existují komparátory hrazené z veřejného zdravotního pojištění (ať s úhradou stanovenou ve správním řízení či v režimu dle § 16 zákona), povinně obsahovala analýzu nákladové efektivity<sup>5</sup>.

Ve stejném stanovisku ministerstvo v souladu s doporučením poradního orgánu požadovalo, aby **nejpozději do 24 měsíců bylo provedeno přehodnocení výše a podmínek úhrady LPVO SPINRAZA**. Dále ministerstvo doporučilo, aby **Ústav sledoval situaci v léčbě onemocnění SMA** a v případě naplnění některé z podmínek dle § 39da odst. 11 zákona č. 48/1997 Sb. přehodnotil rozhodnutí o stanovení výše a podmínek úhrady LPVO SPINRAZA.

Druhé projednané podání pak **identifikovalo další problémy**, díky kterým nebyl LVPO ASPAVELI<sup>6</sup> doporučen k zařazení do systému úhrad, a které byly v závazném stanovisku popsány pro futuro. Při projednání analýzy dopadu na rozpočet bylo zjištěno, že **předložená analýza dopadu na rozpočet nevyhovovala standardům Ústavu** a obsahovala neodůvodněně nadhodnocený počet pacientů. Ústav provedl vlastní výpočet, který ukázal, že náklady na léčbu by byly vyšší, než bylo uvedeno v analýze. Nebyla uzavřena smlouva o limitaci nákladů mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami. Hodnotící zpráva obsahovala nejasnosti, například pokles nákladů na léčbu v čase při navýšení počtu pacientů. Z důvodu **existence popsaných nejistot ohledně skutečného dopadu na rozpočet veřejného zdravotního pojištění**, nemohlo ministerstvo jinak než v souladu s péčí řádného hospodáře nesouhlasit se stanovením úhrady.

U některých přípravků poradní orgán apeloval na to, aby **byly zpracovány doporučené postupy odborných společností na národní úrovni, které by zahrnovaly použití hrazených léčivých přípravků**<sup>7,8,9,10</sup>. Ministerstvo souhlasilo s návrhem poradního orgánu a v závazném stanovisku formulovalo i požadavek, aby **postupy zahrnovaly i spolupráci s regionálními poskytovateli zdravotních služeb při dlouhodobé léčbě a participaci zdravotních pojištěven**.

V jednom případě poradní orgán shledal, že navrhovaná cena léčivého přípravku neodpovídá ceně, za kterou je hrazen prostřednictvím § 16 zákona. Protože veřejně přístupný registr smluv

<sup>5</sup> [Závazné stanovisko LPVO SPINRAZA](#)

<sup>6</sup> [Závazné stanovisko LPVO ASPAVELI \(2023\)](#)

<sup>7</sup> [Závazné stanovisko k LPVO EVRYSDI](#)

<sup>8</sup> [Závazné stanovisko k LPVO LITENCITY](#)

<sup>9</sup> [Závazné stanovisko k LPVO AYVAKYT](#)

<sup>10</sup> [Závazné stanovisko k LPVO HEPCLUDEX](#)



obsahoval ceny, které byly pro přípravek v době projednání aktuální, **byl návrh úhrady z veřejného zdravotního pojištění harmonizován s praxí<sup>11</sup>.**

V rámci praxe upozornil poradní orgán i na fakt, že pokud je léčivému přípravku na základě závazného stanoviska ministerstva Ústavem **stanovena výše a podmínky úhrady, a ten je dle SmPC<sup>12</sup> podáván v kombinaci s jinými léčivými přípravky**, o jejichž zařazení do úhrad nebylo požádáno, znamená to, že proces, který měl být standardizován a zjednodušen tzv. třetí cestou, **pro tyto kombinace léčiv nebude naplněn** a v praxi bude dál nezbytný individuální schvalovací proces, který vede příslušná zdravotní pojišťovna u každého pojištěnce zvlášť, a nebude možné předjímat ve všech případech konkrétní rozhodnutí<sup>13</sup>.

Během činnosti poradního orgánu se pak **v několika případech ministerstvo v závazném stanovisku odchýlilo od doporučení poradního orgánu**. Nedá se uvést jeden konkrétní důvod, proč se tak stalo, v takových případech se jednalo o kombinaci více důvodů v jejich vzájemné interakci. Pro příklad je nutné přečíst si odůvodnění v předmětných závazných stanoviscích<sup>14, 15, 16</sup>. Ze strany žadatelů byly v těchto případech **podány proti negativním závazným stanoviskům podněty k přezkumu**, v rámci, nichž bylo často argumentováno tím, že žadatel se zdravotními pojišťovnami uzavřel smluvní ujednání. K tomu ministerstvo uvádí, že ani uzavření takové smlouvy nemusí automaticky zajišťovat finanční stabilitu systému veřejného zdravotního pojištění v souvislosti se vstupem hodnocených intervencí do systému úhrad a přijatelný dopad do rozpočtu veřejného zdravotního pojištění.

Ministerstvo se **odchýlilo od doporučení poradního orgánu zpravidla při zjištění významných limitací bránících posouzení analýzy nákladové efektivity i předpokládaného dopadu do rozpočtu v kombinaci s vysokými náklady na léčbu, a to i přes uzavřená smluvní ujednání se zdravotními pojišťovnami**. V takovém případě, vědomo si odpovědnosti za zajištění zdravotních služeb pro všechny pojištěnce v České republice, **neshledalo schválení úhrady u daných léčivých přípravků za souladné s veřejným zájmem**. Jako odpovědnější doporučilo zachovat dosavadní praxi řízení dle § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění, které umožní individuální posouzení vhodné léčby vzhledem ke konkrétnímu specifickému stavu každého jednoho pacienta.

Během prvního funkčního období vyšel **Ústav vstříc specifickým požadavkům poradního orgánu**, a nad rámec zákonných požadavků učinil **celou řadu úprav formátu hodnotící zprávy**.

---

<sup>11</sup> [Závazné stanovisko k LPVO VOXZOGO](#)

<sup>12</sup> [Souhrn údajů o přípravku](#)

<sup>13</sup> [Závazné stanovisko k LPVO KAFTRIO](#)

<sup>14</sup> [Závazné stanovisko k LPVO KINPEYGO](#)

<sup>15</sup> [Závazné stanovisko k LPVO SOLIRIS](#)

<sup>16</sup> [Závazné stanovisko k LPVO VYVGART](#)

Jednalo se zejména o následující úpravy:

- zpracování úvodního souhrnu k hodnotící zprávě (dále i „HZ“), ve kterém jsou z klinického hlediska akcentovány kritické závěry ve struktuře dle zákonem stanovených parametrů;
- v HZ byla doplněna tabulka „Shrnutí ekonomických parametrů LPVO“, která byla postupně kultivována na základě diskuzí se členy poradního orgánu a jejich potřeb;
- HZ byla doplněna o zhodnocení komparativní účinnosti a dále je v závěru kapitoly komparativní účinnost/bezpečnost uváděn odstavec s kritickým zhodnocením, jestli je LPVO více/méně/srovnatelně účinný jako komparátor;
- v kapitole HZ k vlivu léčby na kvalitu života je uvedeno, jestli byla/nebyla prokázána v krátkodobém/dlouhodobém horizontu;
- na požadavek poradního orgánu je do HZ doplňováno hodnocení zahraničních agentur v části „Hodnocení zahraničních agentur“;
- poradnímu orgánu je poskytováno srovnání ekonomických parametrů ve veřejné úhradě a se zohledněním obchodního tajemství. Dokument „Doplňující informace pro poradní orgán k LPVO“ je posílán jako speciální příloha – tedy nad rámec spisu – jedná se o servis pouze pro poradní orgán (není dostupné účastníkům správního řízení);
- v části analýzy nákladové efektivity HZ jsou uváděny Markovovy trace grafy, pokud jsou veřejné, které graficky znázorňují přechody mezi jednotlivými zdravotními stavy ve zvoleném časovém horizontu. Nově bude, za účelem přiblížení modelace, uváděno i základní grafické znázornění farmakoekonomického modelu s popisem jednotlivých zdravotních stavů (snaha přiblížit, jak funguje model);
- v části dopadu na rozpočet HZ je uváděna část popisující způsob kalkulace nákladů na hodnocenou intervenci – podnadpis: Způsob kalkulace nákladů na hodnocenou intervenci, kde je uváděn přesný postup výpočtu a vstupy (počty pacientů a náklady), aby si členové PO mohli v případě zájmu sami přepočítat BIA – opět vzniklo jako reakce na diskuzi se členy poradního orgánu;
- na základě požadavku poradního orgánu je Ústavem postupován souhrn referencí v samostatném souboru tak, aby bylo eliminováno složité dohledávání dokumentů ve spise;
- Ústav se snaží, aby hodnocení bylo psané co nejsrozumitelnějším jazykem, více vysvětluje a uvádí konkrétní závěry k dopadům možných změn.



## ZÁVĚR

Odbor Kanceláře ministra na tomto místě děkuje všem členům poradního orgánu za pečlivou a odpovědnou přípravu na každé jednání, za vysokou kulturu spolupráce při hledání toho nejlepšího řešení s ohledem na potřeby pacientů i na finanční udržitelnost zdravotního systému.

Od počátku členové poradního orgánu vždy fungovali jako tým, který se navzájem doplňoval a odborné diskuze vedl kultivovaně, odpovědně, s citem a velkým uvážením.

Velký dík patří i všem zapojeným zástupcům Ústavu za vstřícnou spolupráci a trpělivost při zodpovídání řady dotazů. Rovněž Ústavu děkujeme za přípravu a realizaci série školení v HTA<sup>17</sup>, která budou pokračovat i v následujícím období.

V neposlední řadě je nasnadě poděkovat i všem spolupracujícím kolegům z ministerstva, kteří poskytují součinnost při konzultacích v rámci svých odborností.

Ministerstvo i poradní orgán budou vždy postupovat odpovědně s ohledem na omezené finanční zdroje, které má systém 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.

---

<sup>17</sup> Health technology assessment