



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

---

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

Č. j.: MZDR 1263/2025-5/MIN/KAN



MZDRX01UV59K

## **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

<b>ATC</b>	<b>Kód SÚKL</b>	<b>Název</b>	<b>Doplněk názvu</b>
L04AJ03	0255396	ASPAVELI	1080MG INF SOL 8(8X1)X20ML

(dále jen „LPVO ASPAVELI“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS154847/2024,

jehož účastníky jsou:

**Česká průmyslová zdravotní pojišťovna,**

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

**Oborová zdravotní pojišťovna zaměstnanců bank, pojišťoven a stavebnictví,**

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

**RBP, zdravotní pojišťovna,**

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

**Vojenská zdravotní pojišťovna České republiky,**

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

**Zaměstnanecská pojišťovna Škoda,**

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

**Zdravotní pojišťovna ministerstva vnitra České republiky,**

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

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

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

**Swedish Orphan Biovitrum AB (publ),** IČ: 556038-9321, SE-112 76 Stockholm,  
Švédské království  
Zastoupena: **Swedish Orphan Biovitrum s.r.o.,** se sídlem Na Strži 1702/65, Nusle, 140 00  
Praha 4, Česká republika, IČ: 28171276 (dále též jen „žadatel“)

**Česká lékařská společnost J.E. Purkyně,**  
se sídlem Sokolská 490/31, 120 00 Praha 2, IČ: 00444359 (Česká hematologická  
společnost, Česká společnost pro trombózu a hemostázu) (dále též jen „ČLS JEP“ 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 „patientská 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 ASPAVELI z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. suk17929/2025 ze dne 14. 1. 2025.**

#### **Odůvodnění:**

Dne 14. 1. 2025 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. SUKLS154847/2024 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997 Sb. nařídilo na 5. 2. 2025 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) ASPAVELI** (obsahující léčivou látku pegcetakoplan (PGC)) je dle SmPC indikován k léčbě paroxysmální noční hemoglobinurie (PNH) u dospělých pacientů, kteří mají hemolytickou anemii. Posuzovaná indikace je v souladu se SmPC.

Ze spisové dokumentace vedené pod sp. zn. SUKLS154847/2024 (dále jen „podklady ve spise“) vyplynulo, že dosavadní klinický program zahrnuje 2 klinické studie fáze 3 hodnotící účinnost a bezpečnost PGC:

**a) Populace pacientů s PNH, kteří nebyli léčeni žádným inhibitorem komplementu (1. linie léčby)**

V klinické studii PRINCE2 byl PGC srovnáván se standardní péčí (SoC) u pacientů, kteří zatím nebyli léčeni žádným inhibitorem komplementu (první linie léčby) a měli hodnoty hemoglobinu (Hb) nižší než dolní limit normálu (LLN, muži pod 16,6 g/dl a ženy pod 12 g/dl). Ve skupině léčené PGC dosáhlo stabilizace Hb (primární cílový parametr) 85,7 % (30/35) pacientů oproti 0 % pacientů v kontrolním rameni a klinicky i statisticky významného snížení hladiny laktátdehydrogenázy (LDH), v rameni PGC -1870,5 U/l, v kontrolním rameni -400,1

U/I ( $P < 0,0001$ ). Rovněž v hematologických parametrech sledovaných v rámci sekundárních parametrů dosáhl PGC superiority (odpověď Hb, změna absolutního počtu retikulocytů, nárůst hladiny Hb, transfuzní nezávislost).

Data z klinické praxe pro podání PGC v první linii léčby zatím nejsou k dispozici.

Vzhledem k tomu, že nejsou k dispozici data z přímého srovnání PGC se standardem léčby PNH v první linii – ekulizumabem (ECU), provedl žadatel nepřímé srovnání účinnosti a bezpečnosti PGC vůči ECU3 u komplement naivních pacientů. Výsledky nepřímého srovnání dokládají, že léčba PGC je spojena se statisticky významným zlepšením většiny klinických a hematologických ukazatelů ve srovnání s léčbou ECU a lepší kvalitou života hodnocenou pomocí skóre celkového zdravotního stavu EORTC QLQ-C30.

## **b) Populace pacientů s PNH, kteří byli léčeni inhibitorem komplementu (2. linie léčby).**

V klinické studii fáze 3 PEGASUS byl PGC srovnáván s léčbou ekulizumabem (ECU) u pacientů s PNH, kteří měli anémii, tj. hladinu Hb méně než 10,5 g/dl, i přes minimálně tříměsíční léčbu ECU. PGC prokázal superioritu vůči ECU, pokud jde o změnu hladiny Hb od baseline do 16. týdne. V rameni PGC došlo k nárůstu hladiny Hb průměrně o 2,37 g/dl, v rameni ECU se hladina Hb snížila o -1,47 g/dl ( $P < 0,001$ ). Bezpečnost byla v obou studiích vyhodnocena jako akceptovatelná.

V rámci pokračující, otevřené, nerandomizované, multicentrické klinické studie 307-OLE jsou sledovány dlouhodobá bezpečnost a účinnost PGC u pacientů, kteří byli zařazeni do mateřských studií PRINCE a PEGASUS. Průběžná data z tohoto sledování (po 48 týdnech) potvrzují udržení stabilních hladin Hb a LDH a také zlepšení kvality života ve srovnání se stavem při vstupu do studií. Klinická studie PEGASUS sloužila pro registrační proceduru na EMA (datum registrace: 13. 12. 2021) pro prokázání pozitivního poměru riziko/benefit.

K dispozici jsou data z klinické praxe pro podání PGC v druhé linii léčby v ČR i v zahraničí, která informace a podklady z klinické studie PEGASUS potvrzují a doplňují. Pacienti léčení PGC si udržují stabilní hladiny Hb, sníženou hladinu LDH a klesá míra závislosti na transfuzích.

Z podkladů ve spise vyplynulo, že **PNH je vzácné hematologické onemocnění**, které se manifestuje především anémií a trombotickými komplikacemi. Dle vyjádření České hematologické společnosti ČLS JEP (ČHS) je incidence PNH v ČR 0,5 nemocných na 100 000 obyvatel, prevalence se odhaduje na 0,8-1/100 000 obyvatel.

Je charakterizováno chronickou anémií, trombózou a selháním kostní dřeně. Příznaky onemocnění významně snižují kvalitu života pacientů (únava, bolest, svalová dystonie, dysfagie, erektní dysfunkce). Onemocnění postihuje stejně muže i ženy, nejvyšší incidence je mezi 30–45 rokem života. Klinický průběh onemocnění je těžko předvídatelný, někteří pacienti mají rychlý nástup onemocnění a rychlou progresi k úmrtí, zatímco jiní mají dlouhý chronický průběh s několika život ohrožujícími komplikacemi (trombózy, poškození jater a ledvin).

U pacientů bez léčby byla doba dožití uváděna 10–22 let, průměrně 20 % pacientů umíralo do 6 let od diagnózy.

Data z dánského registru dokládají, že pacienti s PNH (průměrný věk v době diagnózy 48 let) mají oproti běžné populaci zkrácenou délku dožití, průměrný věk úmrtí 67,3 let (naděje na dožití v ČR je pro věkovou kategorii 48 let v závislosti na pohlaví 30-35 let, tj. 78-83 let věku). Onemocnění tedy zkracuje očekávanou délku života o cca 14 let.

Dle vyjádření odborníků ve spise vyplývá, že relevantním komparátorem pro první linii léčby u pacientů dosud neléčených inhibitory komplementu je ekulizumab (ECU, hrazený dle § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění) nebo standardní péče (standard of care, SoC).

V druhé linii léčby je relevantním komparátorem ECU.

V 1. linii léčby je terapie PGC oproti SoC (na základě randomizované studie fáze 3 PRINCE) významně účinnější v parametrech stabilizace hladiny Hb a snížení hladiny LDH.

V nepřímém srovnání oproti ECU se terapie PGC jeví jako významně účinnější v parametrech snížení hladiny LDH, zvýšení hladiny Hb, kratší doba do dosažení normalizace LDH, doba do dosažení stabilizace Hb, větší podíl pacientů bez transfuzní závislosti, menší podíl pacientů s průlomovou hemolýzou.

Ve 2. linii léčby oproti ECU je terapie PGC (na základě randomizované studie fáze 3 PEGASUS) významně účinnější v parametrech změny hladiny Hb a podílu pacientů bez transfuze.

Profil bezpečnosti terapie PGC je akceptovatelný.

Z důkazů ve spise bylo možno vyvodit, že popsáný benefit léčby PGC bude mít klinický význam v praxi a posuzovaný LPVO ASPAVELI bude, v případě dostupnosti a úhrady, v nejbližší době u pacientů s PNH preferovanou možností terapie.

Při posouzení celospolečenského významu možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění poradní orgán posoudil vstupy odborné společnosti, ze kterých vyplynulo, že PNH je získané chronické klonální onemocnění krve tvorby, které se projevuje hemolytickou anémií, trombózou a někdy selháním kostní dřeně.

Příznaky onemocnění významně snižují kvalitu života pacientů (únava, bolest, svalová dystonie, dysfagie, erektní dysfunkce). Onemocnění postihuje stejně muže i ženy, nejvyšší incidence je mezi 30–45 rokem života.

dDle dat z mezinárodního registru PNH pacienti léčení současným standardem léčby (ECU) dosahují signifikantně vyššího přežití při léčbě ECU oproti neléčeným pacientům (zlepšení přežití o 49 %) a redukuje riziko tromboembolií a závažných nežádoucích cévních příhod (60 %). Data o vlivu LPVO ASPAVELI na přežití pacientů s PNH nebyla poradnímu orgánu k dispozici.

Dle vyjádření ČHS je v České republice je t.č. diagnostikováno cca 80 nemocných s PNH. Z tohoto počtu je cca 15 nemocných s malým či minimálním PNH klonem (somatická mutace PIG-A genu). Ze zbývajících 65 nemocných je cca 15 nemocných s mírnými příznaky charakteru chronické hemolýzy bez známek hemolytických krizí, s občasnou nutností podání transfuzí erytrocytů a léčených preventivně antikoagulačními přípravky, cca 10 nemocných má hypoplastickou formu choroby s příznaky vyplývajícími ze selhání krve tvorby (anémie, infekce, krvácení). 40 nemocných má opakované ataky závažné hemolýzy s vysokým rizikem trombotických komplikací, jež mohou být i prvním příznakem onemocnění.

U nemocných s opakovanými hemolytickými/trombotickými komplikacemi vede PNH k výraznému omezení pracovní schopnosti a k částečné či trvalé invaliditě.

ČHS ve svém podání uvedla, že onemocnění výrazně snižuje pracovní schopnost a u mladších nemocných i komplikuje možnost získání plnohodnotného vzdělání. Onemocnění vede u řady nemocných k plné či částečné invaliditě a tím k čerpání sociálních dávek.

Žadatel provedl vlastní dotazníkové šetření mezi pacienty s PNH v České republice hodnotící socioekonomický dopad onemocnění<sup>1</sup>.

Charakteristiky hodnocené populace: 10 (56 %) žen a 8 (44 %) mužů. Průměrný věk byl 46,6 let (SD 17,5; medián 40,5; min. 24; max. 76) a průměrná délka od stanovení diagnózy PNH byla 9,9 let (SD 8,1; medián 7; min. 2; max. 36). 3 pacienti (2 pacienti léčení přípravkem SOLIRIS, 1 pacient léčený přípravkem ULTOMIRIS) z 18 dotázaných uvedli, že potřebují pomoc při následujících činnostech: doprava k lékaři, nákupy, mobilita, úklid domácnosti, pomoc při péči o členy rodiny (postižený manžel).

Deset z 18 pacientů léčených inhibitory C5 je současně léčeno krevními transfuzemi. Četnost transfuzí je v průměru 6,1krát za rok (SD 5,9; medián 4; min 1; max 20; N=8), což představuje další časovou zátěž.

U pracovně aktivních pacientů (N=7) činila absolutní doba nepřítomnosti v práci v průměru 11,1 h za 28 dní, což vede k relativní absenci 6 %. To znamená, že pacienti pracovali pouze 94 % doby, po kterou měli pracovat. Absolutní míra presenteismu u pracujících pacientů činila 79 %, ztráta pracovní výkonnosti měřeno jejich subjektivním názorem činila 21 %. Kombinace relativního absenteismu a absolutního presenteismu má skóre 0,75. To znamená, že pracovní doba pacientů dosahuje pouze 75 % hodnoty běžné pracovní doby.

Pacientská organizace (ČAVO) ve svém vyjádření (ze dne 1. 7. 2024, založeno do spisu pod č.j. sukl164661/2024)<sup>20</sup> dále zdůraznila, že ekonomické a sociální důsledky onemocnění v rodině mají dopad na všechny členy rodiny. Pacienti jsou kvůli onemocnění značně omezeni na trhu práce.

Celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění spočívá ve snížení symptomatologie a zlepšení kvality života pacientů. Cílem terapie onemocnění je korekce anemie, předcházení trombotickým komplikacím a zlepšení kvality života pacientů s PNH. Předložené důkazy k posuzovanému LPVO ASPAVELI prokazují, že při terapii PGC dochází k signifikantnímu vzestupu hodnot Hb, poklesu hladin LDH, dosažení transfuzní nezávislosti a poklesu počtu retikulocytů. Léčba rovněž vedla ke zlepšení kvality života.

Dopad terapie posuzovaným LP ASPVELI na systém sociálního zabezpečení v ČR nemohl poradní orgán posoudit, neboť konkrétní relevantní data nejsou k dispozici. Předložena nebyla ani relevantní data k výši sociálních dávek a vyčíslení invalidních důchodů. Žadatel

---

<sup>1</sup> Pro účely tohoto správního řízení byly analyzovány pouze údaje od pacientů s PNH léčených inhibitory C5.

hlavní úsporu spatřuje ve snížení nutnosti pacienta dojíždět na krevní transfuze a IV podání léků.

Data z šetření provedeného žadatelem mezi pacienty s PNH dokládají omezení pracovních aktivit u pacientů v důsledku onemocnění.

S odkazem na dostupná klinická data je možné předpokládat, že terapie PGC přispěje ke snížení zdravotních komplikací u pacientů s PNH, **snížení zatížení zdravotního systému a zachování pracovní produktivity, tedy snížení nákladů na ztracenou mzdu invalidního důchodce a vyplacené invalidní dávky.**

Data o nákladech na zdravotní péči, zdravotní pomůcky a o sociálních nákladech nebyla předložena.

Dle důkazů ve spise dospěl poradní orgán k názoru, že léčba PGC přispívá ke zlepšení kvality života pacientů s PNH.

Kvalita života byla hodnocena v post hoc analýze klinické studie PRINCE pomocí dotazníků Functional Assessment of Chronic Illness Therapy-Fatigue (FACIT-F) (klíčový sekundární cílový parametr) a EORTC QLQ-C30. U pacientů užívajících PGC se průměrné skóre na škále únavy FACIT-F signifikantně zvýšilo z výchozí hodnoty na normální úroveň ve 4. týdnu a zůstalo mírně nad normální úroveň až do 26. týdne. V rameni komparátoru SoC bylo skóre nižší a pod normální úroveň po celých 26 týdnů. V týdnu 26 však superiorita PGC nebyla statisticky prokázána ( $P=0,0610$ ).

Komparativní data pro PGC vs. ECU o vlivu na kvalitu života u komplement naivních pacientů s PNH jsou k dispozici z provedeného nepřímého srovnání, v němž byl potvrzen statisticky významný vliv PGC na celkový zdravotní status hodnocený pomocí EORTC QLQ-C30.

Kvalita život byla hodnocena také v rámci klinické studie PEGASUS. V rameni PGC došlo ke klinicky významnému zvýšení skóre FACIT-F o 9,2 bodu, zatímco v rameni ECU se skóre snížilo o 2,7 bodu. Statistická významnost rozdílu nebyla testována z důvodu předem stanovených pravidel statistického hierarchického testování.

Poradní orgán byl Ústavem informován, že pro terapii onemocnění jsou k dispozici doporučení ČHS z října 2024, ve kterých je zmíněno použití PGC jak v první, tak v druhé linii léčby. Dále jsou k dispozici doporučení pro léčbu PNH vydaná „National Institute for Health and Care Excellence“ (NICE) v roce 2022, které s ohledem na rok vydání zohledňují podání LPVO ASPAVELI pouze v druhé linii léčby. Doporučení „Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health“ (CADTH) z roku 2023 také uvádí podání LPVO ASPAVELI pouze v druhé linii léčby.

V tomto ohledu poradní orgán upozornil, že uvedená doporučení v zahraničí nejsou plně aplikovatelná na podmínky v ČR, neboť zařazení LPVO ASPAVELI striktně do druhé linie léčby je v daných zemích z toho důvodu, že mají pro první linii léčby k dispozici LPVO SOLIRIS. To však pro ČR neplatí – LPVO ASPAVELI je pro pacienty v ČR lékem první i druhé linie, v souladu s doporučením ČHS z října 2024, LPVO SOLIRIS nemá doposud v ČR pro indikaci PNH stanovenou výši a podmínky úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění

Česká republika disponuje dostatečným počtem pracovišť pro podávání LPVO ASPAVELI. Péče o pacienty se závažnější formou choroby je soustředěna v Centrech specializované hematologické péče (ÚHKT, FN Královské Vinohrady, FN Plzeň, FN Hradec Králové, FN Brno, FN Olomouc a FN Ostrava pro dospělé pacienty, FN Motol a FN Olomouc pro dětské pacienty). Pacienti s lehčím průběhem choroby jsou sledováni na 8 pracovištích rozšířené hematologické péče a konzultováni s Centry specializované péče.

Nákladová efektivita byla poradnímu orgánu prezentována s tím, že po metodické stránce analýza pro 1. i 2. linii léčby vyhovují standardům Ústavu (metodice SP-CAU-28).

V případě 1. linie léčby se na základě modelace v celoživotním horizontu v základním scénáři inkrementální benefit jeví 0,4 QALY a 0 LYG a inkrementální náklady 17 960 642 Kč ve srovnání s LPVO SOLIRIS inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) je tedy ve výši 44 683 563 Kč/QALY.

Ve srovnání se SoC se inkrementální benefit jeví jako 4,82 QALY a 3,42 LYG a inkrementální náklady 176 174 817 Kč, inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) je tedy ve výši 36 563 263 Kč/QALY.

V případě celospolečenské perspektivy jsou pak inkrementální náklady ve srovnání s LPVO SOLIRIS o 410 289 Kč nižší, ve srovnání se SoC o 259 475 Kč vyšší oproti perspektivě z pohledu plátce a ICER tak činil 43 662 823 Kč/QALY ve srovnání s LP SOLIRIS a 36 617 115 Kč/QALY ve srovnání se SoC. Výsledek analýzy z celospolečenské a vládní perspektivy je obdobný výsledku analýzy z pohledu plátce.

V tomto správním řízení žadatel předložil pouze aktualizované výsledky již předložené analýzy nákladové efektivity a doplnil scénáře z pohledu celospolečenské a vládní perspektivy.

V případě 2. linie léčby se inkrementální přínosy a náklady liší od původní analýzy nákladové efektivity ze správního řízení správním řízení sp. zn. SUKLS110348/2023. V případě nákladů byl rozdíl zdůvodněn odlišným návrhem výše UHR pro hodnocený přípravek. V případě přínosů rozdíl zdůvodněn nebyl. Ústav shledal důvodné pochybnosti o zachování stejného nastavení modelu jako ve správním řízení sp. zn. SUKLS110348/2023.

Na základě modelace v celoživotním horizontu se inkrementální benefit v tomto scénáři jeví 1,68 QALY a 0 LYG a inkrementální náklady 6 833 844 Kč ve srovnání s LP SOLIRIS, inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) je tedy ve výši 4 082 794 Kč/QALY.

V případě celospolečenské perspektivy Ústav disponuje pouze výsledkem k nastavení analýzy, které nebyl sto přezkoumat.

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

Při posuzování předpokládaného dopadu do rozpočtu zohledňujícího veřejný zájem poradní orgán shledal, že po metodické stránce předložené analýzy dopadu na rozpočet nevyhovovaly standardům Ústavu, resp. metodice SP-CAU-27, a to zejména z důvodu nesrovnalosti v odhadovaném počtu pacientů léčených LPVO ASPAVELI uvažovaným žadatelem a uváděným odbornou společností. Ústav proto provedl vlastní přepočtení výsledku analýzy. Analýza dopadu na rozpočet léčivého přípravku ASPAVELI z perspektivy plátce ve srovnání s komparátory LPVO SOLIRIS a SoC odhaduje 20 až 52 léčených pacientů v 1.–5.



roce a ukazuje výsledek ve výši 51 až 255 milionů Kč v prvních pěti letech. Celkové průměrné náklady na jednoho pacienta léčeného LPVO ASPAVELI jsou 41 368 499 Kč, léčeného LPVO SOLIRIS jsou 37 322 265 Kč a SoC 262 889 Kč (za 5 let). Uvedené výsledky nezohledňují uzavřené finanční ujednání, s jehož výsledkem, jak je uvedeno i výše, byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství. Poradní orgán souhlasil se scénářem předloženým žadatelem, který v prvním roce uvažuje 27 pacientů a více, neboť lze předpokládat, že při zařazení LPVO ASPAVELI do systému úhrad, bude tento k dispozici všem indikovaným pacientům doposud léčeným jinými LP hrazenými dle § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Při posuzování podmínek úhrady z prostředků zdravotního pojištění vzal poradní orgán na vědomí návrh Ústavu.

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: Pegcetakoplan je hrazen v léčbě dospělých pacientů s paroxysmální noční hemoglobinurií, kteří mají hemolytickou anemii.*

Po posouzení předložených podkladů a následné rozpravě poradní orgán shledal stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady LPVO ASPAVELI za souladné s veřejným zájmem a **jednomyslně doporučil ministerstvu zdravotnictví úhradu stanovit dle návrhu Ústavu.**

Poradní orgán rozhodl s vědomím toho, že klinické studie PRINCE a PEGASUS prokázaly účinnost a bezpečnost PGC při podání v první i druhé linii léčby u pacientů s PNH, kteří měli anémii a tato populace byla hodnocena i v předložených farmakoekonomických podkladech.

Poradní orgán přihlédl k faktu, že PNH postihuje stejně muže i ženy, nejvyšší incidence je mezi 30–45 rokem života, tedy v době, kdy má onemocnění vliv nejenom na kvalitu života, ale i na práceschopnost a schopnost péče o rodinné příslušníky (děti, rodiče). Klinický průběh onemocnění je těžko předvídatelný, někteří pacienti mají rychlý nástup onemocnění a rychlou progresi k úmrtí, zatímco jiní mají dlouhý chronický průběh s několika život ohrožujícími komplikacemi (trombózy, poškození jater a ledvin). U pacientů bez léčby byla doba dožití uváděna 10–22 let, průměrně 20 % pacientů umíralo do 6 let od diagnózy.

Poradní orgán rozhodl s vědomím toho, že žádost o stanovení výše a podmínek úhrady již neobsahuje nedostatky minulého podání, a to bez ohledu na fakt, že aktuální žádost je oproti minulé podána pro 1. i 2. linii léčby.

Ohledně bodů a) – g) (terapeutická účinnost a bezpečnost, závažnost onemocnění, nahraditelnost, celospolečenský význam, přínos na zlepšení kvality života, možnosti poskytování, doporučené postupy) § 39da nepanovaly žádné pochybnosti a poradní orgán se přiklonil ke znění příslušných pasáží upravené hodnotící zprávy Ústavu.

Oproti minulému podání poradní orgán kladně hodnotil skutečnost, že došlo ke smluvním ujednáním mezi žadatelem a zdravotními pojišťovkami. S výsledky byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství a může konstatovat, že analýza nákladové

efektivity, jako i předpokládaný dopad do rozpočtu toto smluvní ujednání reflektující, vycházejí příznivěji, než jak je uvedeno v upravené hodnotící zprávě Ústavu.

V projednaném podání, ve kterém je žádána úhrada jak pro 1. linii, tak pro 2. linii léčby PNH, byl lépe upraven odhad počtu pacientů indikovaných k léčbě LPVO ASPAVELI, který byl v předchozím projednání (jednalo se o návrh úhrady léčby pacientů pouze ve 2. linii léčby), dle názoru poradního orgánu, neodůvodněným způsobem nadhodnocen.

Poradní orgán souhlasí s předloženým scénářem žadatele, který v prvním roce uvažuje 27 pacientů a více, neboť lze předpokládat, že při zařazení LPVO ASPAVELI do systému úhrad, bude tento k dispozici všem indikovaným pacientům doposud léčeným jinými LP hrazenými dle § 16 zákona o zdravotním pojištění.

**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. suk17929/2025 ze dne 14. 1. 2025.**

Ministerstvo se ztotožňuje s odůvodněním doporučení formulovaným poradním orgánem (viz výše) a konstatuje, že shledává stanovení podmínek a výše úhrady LPVO ASPAVELI za souladné s veřejným zájmem nejenom pro dříve navrhovanou 2. linii léčby, ale i pro nově navrženou 1. linii.

Kohorta pacientů s PNH prostřednictvím LPVO ASPAVELI získá vhodnou terapii s významným pozitivním dopadem nejen na kvalitu života, ale i na délku dožití, a to v době, kdy nemoc významně ovlivňuje jejich pracovní schopnost a schopnost péče o rodinu. U mladších pacientů nemoc komplikuje i možnost získání plnohodnotného vzdělání. PNH vede u řady nemocných k plné či částečné invaliditě a čerpání sociálních dávek. S odkazem na dostupná klinická data ministerstvo předpokládá, že terapie PGC přispěje ke snížení zdravotních komplikací u pacientů s PNH, snížení zatížení zdravotního systému a zachování pracovní produktivity, tedy snížení nákladů na ztracenou mzdu invalidního důchodce a vyplacené invalidní dávky.

Ministerstvo se rovněž ztotožňuje s názorem poradního orgánu ohledně scénáře předloženého žadatelem, který v prvním roce uvažuje 27 pacientů a více, jakož i předpokladem, že schválení úhrady LPVO v dané indikaci podníti iniciaci vstupu dalších LPVO pro PNH do systému úhrad z veřejného zdravotního pojištění.

Ministerstvo souhlasí s poradním orgánem v názoru, že důkazy ve spise prokázaly soulad s veřejným zájmem a rovněž, že výsledky uzavřených smluvních ujednání mají vykazují příznivější výsledky nákladové efektivity i dopadu do rozpočtu, než jak uvádí upravená hodnotící zpráva Ústavu.

### **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