



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

Praha, (datum uvedeno v doložce e-podpisu)

Č. j.: MZDR 8664/2025-5/MIN/KAN



MZDRX01VXXPP

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
R07AX32	0272078	KAFTRIO	60MG/40MG/80MG GRA SCC 28
R07AX32	0272079	KAFTRIO	75MG/50MG/100MG GRA SCC 28

(dále jen „LPVO KAFTRIO“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS72107/2024,

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

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 „**žadatel**“ či „**VZP**“)

Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited, Unit 49, Block F2, Northwood Court, Santry,
D09 T665 Dublin 9, Unit 49, Block F2, Northwood Court, Santry, D09 T665 Dublin 9, Irsko,
IČ: 502558,
Zastoupena: **Mgr. Michal Burger**, se sídlem Klínek 204, 25210 Klínek (dále též jen „**MAH**“)

Česká lékařská společnost J.E. Purkyně,
se sídlem Sokolská 490/31, 120 00 Praha 2, IČ: 00444359 ((Česká skupina pro cystickou
fibrózu, Česká pneumologická a ftizeologická společnost, Česká společnost dětské
pneumologie) (dále též jen „**ČLS JEP**“ nebo „**odborná společnost**“)

Klub nemocných cystickou fibrózou, z.s., se sídlem Kudrnova 22/95, 150 06 Praha 5,
IČ: 45249440, (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 KAFTRIO z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. sukl114054/2025 ze dne 1. 4. 2025.

O d ů v o d n ě n í:

Dne 1. 4. 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. SUKLS72107/2024 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na 14. 5. 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) KAFTRIO v lékové formě granulí pro perorální podání (obsahující kombinaci 3 léčivých látek ivakaftor, tezakaftor, elexakaftor) je dle SmPC indikován v kombinovaném režimu s ivakaftorem k léčbě cystické fibrózy u pediatrických pacientů ve věku od 2 let do méně než 6 let, kteří mají alespoň jednu mutaci F508del v genu pro transmembránový regulátor vodivosti (CFTR).

Léčivá látka ivakaftor¹ zvyšuje pravděpodobnost otevření chloridového kanálku a splňuje tak roli potenciátoru CFTR, léčivé látky tezakaftor a elexakaftor brání degradaci syntetizovaného proteinu uvnitř buňky; mají tak funkci korektorů CFTR.

¹ Léčivá látka ivakaftor (LP KALYDECO ve formě granulí pro perorální podání), která je s LPVO KAFTRIO indikována v kombinovaném režimu, není trvale hrazena z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Stanovení výše a podmínek úhrady LP KALYDECO není předmětem probíhajícího správního řízení.

Bezpečnost, tolerabilita a přenositelnost dat pro skupinu pediatrických pacientů ve věku od 2 do méně než 6 let byla ověřena v jednoramenné klinické studii 111. Léčba kombinací IVA/TEZ/ELX v lékové formě granulí pro perorální podání (v kombinaci s IVA) přinesla významné zlepšení hladin SwCl (průměrná absolutní změna množství chloridových iontů v potu ve 24. týdnu oproti výchozí hodnotě -57,9 mmol/l (95% CI: -61,3; -54,6) a LCI_{2,5} (pokles o -0,83 U oproti výchozí hodnotě (95% CI: -1,01; -0,66 ve 24. týdnu), které se udrželo po dalších 48 týdnů léčby ve studii 112 (prodloužená studie OLE). Tato zjištění jsou v souladu se zjištěními pozorovanými ve studiích u pacientů ve věku ≥ 6 let, což podporuje extrapolaci účinnosti na pacienty v této věkové skupině.

Pro hodnocení účinnosti a bezpečnosti kombinace IVA/TEZ/ELX (v kombinaci s IVA) v lékové formě granulí pro perorální podání u cílové populace pacientů ve věku od 2 do méně než 6 let jsou stěžejní výsledky studií kombinace IVA/TEZ/ELX (v kombinaci s IVA) v lékové formě tablet u pacientů s cystickou fibrózou ve věku od 6 let, kdy účinnost a bezpečnost byla prokázána ve 4 randomizovaných, multicentrických, dvojitě zaslepených studiích fáze III, kde se léčivý přípravek srovnává s placebem (resp. podpůrnou léčbou, best supportive care = BSC) nebo aktivními komparátory (LP KALYDECO) a prokazuje vyšší účinnost a minimálně obdobnou bezpečnost. Tyto studie sloužily pro registrační proceduru na EMA pro prokázání pozitivního poměru riziko/benefit u pacientů od 6 let i pro následnou registraci LPVO KAFTRIO a odůvodnění extrapolace dat u dětí od 2-5,99 let.

Dlouhodobé údaje o účinnosti léčby v délce 144 týdnů na základě pokračující open-label, nekontrolované studie 105 jsou v současné době k dispozici pouze pro pacienty od 6 let s genotypem F/F a F/MF. K dispozici jsou data z klinické praxe, která závěry z klinických studií u starších pacientů potvrzují, konkrétně soubory abstraktů, jejichž výsledky byly prezentovány na 45th Annual European Cystic Fibrosis Conference.

CF (cystická fibróza) je vrozené, progresivní, závažné a život zkracující onemocnění, které vede k opakovaným hospitalizacím, progreduje k invaliditě a má zásadní vliv na snížení kvality života. Cystická fibróza postihuje zejména dýchací a trávicí systém, ale i některé další orgány. Léčba CF je náročná, pacienti potřebují celý život intenzivní léčbu zahrnující každodenní inhalace, užívání mnoha farmak, respirační fyzioterapii a speciální vysokokalorickou stravu.

Při posuzování nahraditelnosti posuzovaného přípravku jinými léčebnými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění byl poradní orgán seznámen s tím, že posuzovaný LPVO lze porovnat se současným standardem léčby, kterým je BSC a léčba pomocí léčiv ze skupiny CFTR modulátorů (LP ORKAMBI, LP KALYDECO – u pacientů ve věku od 2-5,99 let). K přidané terapeutické hodnotě přípravku se lze tudíž vyjádřit ve srovnání (na základě přímých i nepřímých srovnání) se všemi relevantními komparátory.

Účinnost LPVO KAFTRIO byla prokázána u pacientů, kteří mají mutaci F508del alespoň na jedné alele, a to jak na úrovni laboratorních parametrů, tak i na klinickém stavu pacientů. Výsledky kontrolovaných klinických studií oproti komparátorům BSC a LP KALYDECO u pacientů s mutací F/MF a F/Gating a starších 6 let dokládají signifikantní a klinicky významné zlepšení funkce plic, pokles koncentrace chloridů v potu a pozitivní vliv na kvalitu života pacientů (i pozitivní bezpečnostní profil). Srovnání s BSC u pacientů s mutací F/F

Ústav akceptoval na základě extrapolace z klinických studií 103, 109 ve srovnání s LP SYMKEVI v souladu s hodnocením EMA. U pacientů s mutací F/RF Ústav klinický přínos LPVO KAFTRIO ve vlivu na zlepšení funkce plic oproti terapii LP SYMKEVI interpretoval jako mírné zlepšení. Tato data byla rovněž využita pro komparativní přínos LPVO KAFTRIO u pacientů s mutací F/RF vs. BSC, což je v souladu s hodnocením EMA. Klinická účinnost LPVO KAFTRIO u pacientů věku 6-11 let s mutací F/Gating a F/RF byla diskutována a extrapolována v rámci registračního řízení.

Výsledky jednoramenné klinické studie 111 a její extenze 112 potvrdily zejména bezpečnost, tolerabilitu, klinicky významné snížení hladin chloridových iontů a pozitivní vliv na plicní funkce u pacientů ve věku od 2 do méně než 6 let. Tato data jsou v souladu s daty pozorovanými ve studiích s LPVO KAFTRIO u pacientů ve věku ≥ 6 let, což podporuje extrapolaci účinnosti na pacienty v této věkové skupině.

Oproti komparátoru LP ORKAMBI na základě nepublikovaného nepřímého srovnání předloženého v režimu obchodního tajemství prokázal LPVO KAFTRIO vyšší účinnost. V nepřímých srovnáních nebyla hodnocena bezpečnost, nicméně na základě vyjádření Pacientské organizace (Klub nemocných cystickou fibrózou, z.s.) i Cochrane review autorů Southern et al., 2020 lze, s ohledem na častější výskyt nežádoucích účinků LP ORKAMBI, považovat LPVO KAFTRIO za srovnatelně nebo více bezpečný.

Dle odborného stanoviska České pneumologické a ftizeologické společnosti, České společnosti dětské pneumologie a Mezioborové pracovní skupiny pro cystickou fibrózu i recentního Doporučení pro léčbu cystické fibrózy modulátory (CFTRm) představuje posuzovaný LPVO KAFTRIO lék volby u všech pacientů s alespoň jednou mutací F508del v genu pro CFTR.

Z podkladů ve spise Ústav vyvodil, že popsané rozdíly budou mít klinický význam v praxi a posuzovaný přípravek bude, v případě dostupnosti a úhrady, v nejbližší době nejvíce preferovanou možností terapie.

Při posouzení celospolečenského významu možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění z Upravené hodnotící zprávy vyplynulo, že CF negativně ovlivňuje zdravotní stav, průčeschnost, rodinné finance a kvalitu života, přičemž LPVO KAFTRIO má potenciál zlepšit kvalitu života pacientů a snížit počet hospitalizací. Dopad na systém sociálního zabezpečení byl kalkulován na základě studie, která potvrdila významný negativní vliv CF na průčeschnost a vyšší míru nezaměstnanosti.

Při posuzování prokazatelného přínosu na zlepšení kvality života pacienta, bylo ze spisu zjištěno, že LPVO KAFTRIO vykazuje pozitivní vliv na kvalitu života pacientů ve srovnání s BSC a komparátorem LPVO KALYDECO. Dotazníkové šetření ukázalo významný vliv na snížení výskytu kašle, počtu inhalací, únavy, trávicích potíží, navýšení hmotnosti, počet exacerbací a hospitalizací.

Při posouzení reálných možností pro zajištění poskytování úspěšné a efektivní léčby v síti poskytovatelů zdravotních služeb byl poradní orgán seznámen s tím, že v případě zařazení do systému úhrad, může být léčba LPVO KAFTRIO poskytována ve specializovaných centrech pro léčbu cystické fibrózy, konkrétně se jedná o FN Motol, FN Brno, FN Olomouc,

FN Hradec Králové a FN Plzeň. K dispozici jsou české doporučené postupy i zahraniční guidelines, které uvádějí terapii kombinací IVA/TEZ/ELX.

V doporučení pro léčbu cystické fibrózy modulátory (CFTRm) představuje LPVO KAFTRIO léčivý přípravek volby.

Při projednání analýzy nákladové efektivity Ústav poradní orgán informoval, že v předložené analýze nákladové efektivity shledal určité limitace. Výsledky se pohybují v rozmezí 3,6–8,5 milionů Kč/QALY ve srovnání s aktivní terapií a 14,1–17,5 milionů Kč/QALY ve srovnání s BSC.

Při posuzování předpokládaného dopadu do rozpočtu zohledňujícího veřejný zájem poradní orgán shledal, že analýza dopadu na rozpočet odhaduje 77 ročně léčených pacientů v prvních pěti letech a ukazuje výsledek ve výši 159,6 milionů Kč v prvních pěti letech. Celkové průměrné roční náklady na jednoho pacienta léčeného LPVO KAFTRIO + LP KALYDECO jsou 6 300 357,43 Kč.

V upravené hodnotící zprávě Ústavu bylo rovněž uvedeno, že Ústav obdržel smlouvy snižující náklady na léčbu LPVO KAFTRIO uzavřené s účastníkem VZP a účastníkem Svaz. VZP uvádí, že uzavřené smluvní ujednání neodpovídá původnímu návrhu VZP, který eliminoval nejistoty extrémně vysokého dopadu do rozpočtu. Svaz uvádí, že připravované smluvní ujednání nesplňuje požadavky účastníka Svazu na výši poskytnuté slevy.

O existenci ujednání mezi držitelem a pojišťovnami Ústav obdržel informaci. Uzavřené finanční ujednání na základě vyjádření zdravotních pojišťoven však nesplňuje jejich požadavky.

Při zhodnocení podmínek úhrady z prostředků zdravotního pojištění Ústav oproti návrhu žadatele upřesnil podmínky úhrady tak, že dále do podmínek úhrady uvedl podmínky pro zahájení, pokračování a ukončení léčby, které vychází z aktuálního českého doporučení pro léčbu cystické fibrózy modulátory (CFTRm).

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: *Granule léčivého přípravku Kaftrio jsou v kombinovaném režimu s ivakaftorem hrazeny k léčbě cystické fibrózy u pediatrických pacientů ve věku od 2 let do méně než 6 let, kteří mají alespoň jednu mutaci F508del v genu pro transmembránový regulátor vodivosti (CFTR). Léčba je zahájena a pokračuje za předpokladu splnění následujících podmínek compliance:*

- a) *pacient není vystaven pasivnímu kouření*
- b) *pacient dochází na kontroly podle doporučení a harmonogramu návštěv*
- c) *v průběhu léčby po úvodním poklesu nedochází k opakovaným významným vzestupům koncentrace chloridů v potu*

Léčba je ukončena:

- a) *není-li splněna některá z podmínek, určujících compliance s léčbou*
- b) *při nálezů jaterního poškození splňující kritéria Child-Pugh třídy C*
- c) *absolvování transplantace plic, pokud u pacienta nedominují další, extrapulmonální komplikace cystické fibrózy, pro které by pacient mohl z terapie profitovat*

- d) *hypersensitivity na látky obsažené v léčivém přípravku*
- e) *výskytu nežádoucích účinků v souvislosti s léčbou, hodnocených jako klinicky závažné*
- f) *nedochází-li ke stabilizaci klinického stavu a opakovaně změřená koncentrace chloridů v potu je významně vyšší než zjištěná hodnota v prvním roce léčby.*

Indikační omezení:

Ústav navrhuje podmínky úhrady s ohledem na znění platného SmPC léčivého přípravku KAFTRIO a výsledků registračních studií, které prokázaly jeho účinnost a bezpečnost v indikaci léčby cystické fibrózy u pacientů ve věku od 2 do méně než 6 let, kteří mají alespoň jednu mutaci F508del v genu pro CFTR.

Indikační kritéria pro léčbu CFTR modulátory v klinické praxi České republiky zahrnují vždy genotyp a věk. Pacient musí mít prokázanou přítomnost jedné nebo dvou mutací, pro které je lék registrován. Mutace je třeba doložit na originálním výsledku genetického vyšetření z certifikované laboratoře. LPVO KAFTRIO je první volbou pro léčbu cystické fibrózy ve všech případech, kdy pacient splňuje indikační kritéria. Převedení pacienta z jiného modulátoru na LPVO KAFTRIO je žádoucí, kdykoli je to možné. Je však třeba respektovat preference a stav pacienta. Vrácení pacienta z nového modulátoru na předchozí modulátor je vhodné, pokud se po převedení vyskytnou nové závažné nežádoucí účinky.

K posouzení terapeutického efektu se dle aktuálního doporučení vyšetřují plicní funkce (FEV1), tělesná hmotnost a body mass index (BMI) před léčbou a při každé kontrole. K hodnocení compliance se provádí potní test a test nikotinu. K posouzení nežádoucích účinků se pravidelně hodnotí jaterní enzymy, kreatin kináza, krevní tlak. U dětí do 18 let se provádí oční vyšetření k zhodnocení případné katarakty.

Ústav oproti doporučeným postupům i platným podmínkám úhrad LPVO KAFTRIO ve formě tablet určených pro děti od 6 let navrhuje úpravu parametrů start/stop kritérií doplněných do indikačního omezení. Jedná se o parametry, které se v reálné klinické praxi u malých dětí ve věku od 2-5,99 let neuplatňují, např. že pacient nesmí být aktivním kuřákem, toxikomanie a dále hodnocení účinnosti léčby pomocí parametru FEV1, které u malých dětí v předškolním věku není standardně proveditelné.

Po posouzení předložených podkladů a následné rozpravě poradní orgán shledal stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady LPVO KAFTRIO za souladné s veřejným zájmem **a jednomyslně doporučil ministerstvu zdravotnictví souhlasit se stanovením úhrady ve výši a za podmínek uvedených v upravené hodnotící zprávě Ústavu.**

Poradní orgán rozhodl s vědomím toho, že nezbytný komplement léčby předmětným LPVO KAFTRIO (LP KALYDECO) není zařazen do úhrad (a ani o ni držitel rozhodnutí o registraci po ztrátě 2. dočasné úhrady nežádal a nežádá), a tak bude i v případě zařazení LPVO KAFTRIO do systému úhrad pro danou indikaci léčba i nadále vyžadovat žádosti o individuální mimořádnou úhradu dle § 16 zákona č. 48/1997 Sb. Poradní orgán tuto situaci vnímá negativně i proto, že oba LP mají stejného držitele rozhodnutí o registraci. Ostatně stejně situaci poradní orgán kritizoval již v roce 2023, kdy doporučil úhradu LPVO KAFTRIO (v kombinaci s LP KALYDECO) pro kombinovaný režim 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).

Poradní orgán byl seznámen s tím, že LP KALYDECO ztratil status ORPHAN dříve, než došlo k účinnosti právní úpravy § 39da zákona č. 48/1997 Sb. Dle vyjádření držitele rozhodnutí o registraci nemůže být LP KALYDECO zařazen do klasické úhrady (a ani o ni není žádáno), protože nesplňuje podmínky nákladové efektivity, kterou musí Ústav v takovém případě posuzovat. Jak uvedl sám zástupce držitele, problémem je vysoká cena LP KALYDECO, a tudíž nemožnost dosáhnout požadované hodnoty ICER (splnění podmínky účelné terapeutické intervence). Nicméně poradní orgán zdůrazňuje, že odpovědnost za obsah žádosti o stanovení výše a podmínek úhrady LP, a zejména návrh výše úhrady tak, aby odpovídala podmínkám stanoveným platnou legislativou, nese držitel rozhodnutí o registraci.

Poradní orgán situaci vnímá jako velmi problematickou a nepřesvědčily ho ani argumenty držitele rozhodnutí o registraci, že nutnost periodicky žádat o úhradu LP KALYDECO v individuálních případech má vlastně výhody, neboť plátcí mohou pravidelně kontrolovat spolupráci pacienta či zlepšování jeho stavu. Tuto situaci poradní orgán, a zvláště zástupci zdravotních pojišťoven, vnímá jako využití dominantního postavení na trhu, které s sebou nese nejenom vysoké náklady na léčivé přípravky, ale i vysokou administrativní zátěž na straně zdravotních pojišťoven i poskytovatelů zdravotních služeb. Poradní orgán nesouhlasí s tvrzením zástupce držitele, že léčivému přípravku KALYDECO nelze za současné právní úpravy stanovit výši a podmínky úhrady vzhledem k jeho určení k použití pro kombinační terapii.

Poradní orgán přes výše uvedené jednomyslně souhlasil se stanovením podmínek a výše úhrad pro LPVO KAFTRIO, neboť již dříve doporučil stanovení výše a podmínek úhrady pro stejnou diagnózu, avšak pro pacienty starší 6 let. Nyní se jedná o léčbu cystické fibrózy u pediatrických pacientů ve věku od 2 let do méně než 6 let, kteří mají alespoň jednu mutaci F508del v genu pro transmembránový regulátor vodivosti (CFTR). Stejně tak jako důkazy o celospolečenském zájmu na stanovení výše a podmínek úhrady přesvědčily poradní orgán již pro vyšší věkovou kategorii, přesvědčivé byly i pro nyní projednávanou kohortu pacientů. Kromě systémové komplikace popsané výše, s ohledem na potřebu včasné léčby pacientů, jejich zájem a zájem jejich neformálních pečujících, nebyly shledány žádné důvody, proč úhradu nedoporučit.

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. suk1114054/2025 ze dne 1. 4. 2025.

Ministerstvo se plně ztotožňuje s názorem vyjádřeným poradním orgánem (viz výše) a stejně jako poradní orgán vnímá jako nešťastnou situaci, kdy i v případě zařazení LPVO KAFTRIO do systému úhrad pro danou indikaci bude léčba i nadále vyžadovat podávat žádosti o individuální mimořádnou úhradu dle § 16 zákona č. 48/1997 Sb., a to z důvodu nehrzení léčivého přípravku, se kterým má být předmětný LPVO používán v kombinaci. V tomto ohledu však ministerstvo i poradní orgán udělaly vstřícný krok s ohledem na potřeby pacientů. Další kroky, vedoucí k lepšímu přístupu pacientů s cystickou fibrózou k potřebné léčbě, jsou plně v rukou držitele rozhodnutí o registraci.

Ministerstvo se přiklonilo k souhlasu se stanovením výše a podmínek úhrady zejména s ohledem na věk pacientů, pro které je léčba indikována, na závažnost onemocnění a rovněž po pečlivém prozkoumání důkazů o účinnosti a bezpečnosti předmětného LPVO. Rozhodnutí i přes výše uvedené komplikace spojené s úhradou vede záměr poskytnout vyšší účinnost léčby CF s menším výskytem nežádoucích účinků.

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