



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

Praha, (datum uvedeno v doložce e-podpisu)

Č. j.: MZDR 16411/2025-5/MIN/KAN



MZDRX01WMDFH

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
L01FX12	0255191	MINJUVI	200MG INF PLV CSL 1

(dále jen „LPVO MINJUVI“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS145343/2024,

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 „VZP“)

Incyte Biosciences Distribution B.V., Paasheuvelweg 25, 1105 BP Amsterdam, Nizozemské království, IČ: 69231796
Zastoupena: **Swixx Biopharma s.r.o.,** se sídlem Hybernská 5, 110 00 Praha 1, IČ: 06137521 (dále též jen „žadatel“ či „MAH“)

Česká lékařská společnost J. E. Purkyně,
se sídlem Sokolská 490/31, 120 00 Praha 2, IČ: 00444359 (Česká hematologická společnost, dále též jen „odborná společnost“)

Amelie, z.s., se sídlem Šaldova 337/15, 186 00 Praha – Karlín, IČ: 27052141, (dále též jen „pacientská organizace“)

vydává v souladu s § 39da odst. 6 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 MINJUVI z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. sukl257563/2025 ze dne 30. 6. 2025.

O d ů v o d n ě n í:

Dne 30. 6. 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. SUKLS145343/2024 spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení k této hodnotící zprávě.

Ministerstvo v souladu s § 39da odst. 6 zákona č. 48/1997Sb. nařídilo na 23. 7. 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) MINJUVI (obsahující léčivou látku tafasitamab) je dle souhrnu údajů o přípravku (SmPC) indikován v kombinačním režimu s lenalidomidem k léčbě dospělých pacientů s relabujícím nebo refrakterním difúzním velkobuněčným B-lymfomem (diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL), kteří nejsou způsobilí pro autologní transplantaci kmenových buněk (autologous stem cell transplant, ASCT) a byli léčeni alespoň jednou linií léčby.

Dosavadní klinický program zahrnuje jednu jednoramennou nezaslepenou multicentrickou studii fáze II, která byla podkladem pro registrační proceduru u Evropské agentury pro léčivé přípravky (EMA; datum podmíněné registrace: 1. 9. 2021) pro průkaz poměru riziko/benefit ve prospěch léčby. Studie doložila (u pacientů dosud neléčených CAR-T terapií a ve velmi dobrém stavu výkonnosti) dosažení kompletní remise na léčbě kombinačním režimem tafasitamab+lenalidomid (TL) u 40 % léčených, četnost objektivní odpovědi u 57,5 % léčených, s mediánem přežití bez progresu 11,6 měsíců a mediánem celkového přežití kolem 33,5 měsíců. Data z klinické praxe (od pacientů v horším stavu a více předléčených) popisují méně příznivé výsledky terapie dosažené v klinické praxi.

Difuzní velkobuněčný B-lymfom (DLBCL) je život zkracujícím onemocněním, které má zásadní vliv na snížení kvality života a zejména na zkrácení očekávané délky života. U posuzované cílové skupiny pacientů (medián věku 72 let s očekávanou dobou dožití přes 12 let u mužů a téměř 15 let u žen) může významným způsobem zkracovat život na méně než tři roky (dle registrační studie v mediánu na 33,5 měsíců), tj. o více než 75–80 %.

Populace pacientů navržená k úhradě LPVO MINJUVI trpí nevyléčitelným rychle progredujícím onemocněním, které relabovalo či je refrakterní na předchozí terapii. Podle reportu ORPHANET (2022) dosahovala v Evropě prevalence DLBCL hodnoty 43 / 100 000 (tj. 4,3 na 10 tisíc obyvatel) a incidence byla uváděna v hodnotě 2,79 / 100 000. Prevalence a incidence specifické pro Českou republiku u cílové populace pacientů (předléčených nejméně jednou linií terapie) nejsou k dispozici. Velikost cílové populace pacientů s relabujícím nebo refrakterním („RR“) DLBCL po nejméně jedné linii předchozí systémové léčby je odborníky odhadována na 25 pacientů ročně nově zahajujících terapii posuzovaným režimem (viz stanovisko ČHS ze dne 9. 8. 2024).

Při posuzování nahraditelnosti posuzovaného přípravku jinými léčebnými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění byl poradní orgán seznámen s tím, že s ohledem na doporučené postupy v posuzované indikaci považuje Ústav za relevantní komparátory následující modalitty léčby:

- 1) **režimy imuno-chemoterapie** od 2. linie léčby (kombinace **polatuzumab-bendamustin+rituximab** [PolaBR] hrazená ve druhé dočasné úhradě, a trvale hrazený režim standardní imuno-chemoterapie rituximab, gemcitabin, dexamethason (platina) [**R-GD(P)**])
- 2) **CAR-T terapii**, konkrétně LP YESCARTA od 2. linie léčby, LP KYMRIA od 3. linie léčby
- 3) **glofitamab (LP COLUMVI)** od 3. linie léčby
- 4) **lonkastuximab (LP ZYNLONTA)** od 3. linie léčby

Ve srovnání s kombinací PolaBR se LPVO MINJUVI (tafasitamab) v kombinaci s lenalidomidem (T+L) jeví v parametru OS i PFS jako terapie s alespoň obdobnou účinností.

Oproti kombinovaným režimům chemo-imunoterapie (na základě srovnání s kombinací R-GemOx, který je možné u non-hodgkinských lymfomů akceptovat jako *proxy* k hrazenému režimu R-GDP), lze na základě nepřímých srovnání (předložených v režimu obchodního tajemství) akceptovat vyšší účinnost T+L v parametrech PFS i OS.

Ke srovnání posuzovaného režimu T+L oproti terapii CAR-T (LP YESCARTA „axi-cel“ a LP KYMRIA „tisa-cel“), terapii bispecifickou protilátkou glofitamab (LP COLUMVI) a oproti lonkastuximab tesirinu (LP ZYNLONTA) byla Ústavu předložena relevantní nepřímá srovnání v režimu obchodního tajemství¹.

¹ OBCHODNÍ TAJEMSTVÍ_1_MAIC_Minjuvi_5Y-2025-02-11_updated_report_with_supplementary_data.pdf

Podle předloženého srovnání se léčba LPVO MINJUVI (T+L) jeví jako obdobně účinná v parametrech OS i PFS oproti terapii LP YESCARTA (CAR-T terapie, axi-cel) ve 2. linii a oproti LP KYMRIAH (tisa-cel) ve 3. linii.

Ve srovnání s LP COLUMVI (glofitamab) i s LP ZYNLONTA (lonkastuximab tesirin) se léčba LP MINJUVI (T+L) rovněž jeví jako srovnatelně účinná v parametrech PFS i OS.

Profil bezpečnosti terapie LPVO MINJUVI (T+L) lze mít za příznivější ve srovnání s CAR-T terapií (nehrozí syndrom z uvolnění cytokinů), za srovnatelný s kombinačními režimy imunochemoterapie a s LP COLUMVI, a za mírně méně příznivý s více akcentovanou hematologickou toxicitou ve srovnání s LP ZYNLONTA (vyšší výskyt závažné neutropenie, febrilní neutropenie).

Závěr Ústavu ke komparativní účinnosti zní, že terapie režimem T+L je léčbou s nejméně obdobnou účinností s režimy PolaBR a s vyšší účinností oproti standardní imunochemoterapii (reprezentovanou režimem R-GemOx), v obou případech je vyšší přínos pozorován v delším časovém horizontu.

K porovnání účinnosti oproti CAR-T, bispecifické protilátce glofitamab (LPVO COLUMVI) a oproti lonkastuximab tesirinu (LP ZYNLONTA) Ústav v upravené hodnotící zprávě uvedl, že na základě předložených nepřímých srovnání provázených relativně vysokou mírou nejistoty (zejména s ohledem na nižší efektivní velikost vzorku) se porovnávané terapie jeví jako terapie s obdobnou účinností.

Při posouzení celospolečenského významu možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění z Upravené hodnotící zprávy vyplynulo, že celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění spočívá v prodloužení života.

S ohledem na věkovou strukturu pacientů vhodných k terapii, kde převažují pacienti po 60. roce věku (v registrační studii L-MIND byl medián věku 72 let), i na skutečnost, že onemocnění významným způsobem zkracuje očekávanou délku života (i navzdory terapii posuzovaným režimem nedosáhl medián celkového přežití ani tří let), nelze podle názoru Ústavu předpokládat významnější dopad na prostředky sociálního zabezpečení.

Dle podání odborné společnosti ČHS však zhruba čtvrtina pacientů nebude v době relapsu v důchodovém věku (počítáno s důchodovým věkem 65 let). Z nich lze počítat s návratem do pracovního procesu (v průběhu nebo po ukončení léčby) zhruba u poloviny nemocných, tedy z celkového počtu léčených u zhruba 10–15 %. Předpokládaný dopad na systém sociálního zabezpečení žadatel rovněž zohlednil ve farmakoeconomických analýzách.

Podle vyjádření pacientské organizace se většina nemocných s pokročilým lymfomem i s ohledem na vyšší věk není schopna vrátit do pracovního procesu a po roce pracovní neschopnosti je nutností invalidní důchod v nejvyšším, 3. stupni. A až s odstupem dle stavu jsou pacientům stupně invalidity snižovány a mladší pacienti se snaží znovu zapojit do pracovního procesu. Ti starší obvykle přechází do starobního důchodu, někteří i do předčasného starobního důchodu.

Při posuzování prokazatelného přínosu na zlepšení kvality života pacienta bylo ze spisu zjištěno, že údaje o vlivu terapie LPVO MINJUVI na kvalitu života léčených pacientů nebyly v registrační studii sbírány, proto nemohl být přínos na zlepšení kvality života pacienta

poradním orgánem posouzen. Žadatel nepředložil žádná data pro srovnání s žádným relevantním komparátorem v parametru kvality života.

Při posouzení reálných možností pro zajištění poskytování úspěšné a efektivní léčby v síti poskytovatelů zdravotních služeb byl poradní orgán seznámen s tím, že léčbu posuzovaným kombinačním režimem zahrnujícím LPVO MINJUVI lze zajistit v centrech intenzivní hematologické péče, jejichž seznam je uveřejněn ve Věstníku Ministerstva zdravotnictví č. 7/2020.

Pro terapii DLBCL jsou k dispozici česká (Červená kniha, 2023; doporučení Kooperativní lymfomové skupiny, 2023) i zahraniční doporučení, popisující postavení posuzovaného režimu v algoritmu léčby i s ohledem na relevantní komparátorové režimy.

Při projednání analýzy nákladové efektivity Ústav poradní orgán informoval, že po metodické stránce předložené analýzy standardům Ústavu, resp. metodice SP-CAU-28 nevyhovují. Základním nedostatkem je nedostatečná přezkoumatelnost nepřímých srovnání (přínos oproti komparátorům je nejistý) a nevhodný způsob kalkulace nákladů ve srovnáních typu CMA (cost-minimization analysis) (u hodnocené intervence byl použit medián délky léčby namísto průměru).

LPVO MINJUVI v kombinaci s lenalidomidem se oproti komparátorům, se kterými je srovnatelně účinný, jeví (s výjimkou CAR-T přípravků) po korekci kalkulace nákladů jako nákladnější (PolaBR, LP COLUMVI, LP ZYNLONTA), zvláště při zohlednění finančních ujednání u komparátorů. Při zohlednění veřejných nákladů je u srovnání typu CMA navýšení nákladů nejvyšší ve srovnání s režimem PolaBR, a to o cca 5,8 mil. Kč z perspektivy plátců a 5,8/5,7 mil. Kč z perspektivy vládní/celospolečenské.

Lze očekávat, že oproti režimu R-GD je účinnost sice vyšší, nicméně uvažovaný inkrementální přínos 2,41 QALY (4,73 LYG) vs. R-GD se jeví jako nadhodnocený. Pravděpodobný přínos v případě srovnání oproti režimu R-GD je odhadován pod 2 QALY. Inkrementální náklady jsou po korekci nákladů 6,8 mil. Kč z perspektivy plátců. Tomu by při žadatelem uvažovaných přínosech odpovídal inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) ve výši 2,8 mil. Kč/QALY, resp. při zohlednění Ústavem preferovaných poměrů rizik více než 3,4 mil. Kč/QALY. Zohlednění reálných nákladů na LP COLUMVI (glofitamab) v následné léčbě výsledky dále navýší.

Z celospolečenské a vládní perspektivy je navýšení nákladů oproti R-GD mírně nižší (ve srovnání s R-GD 6,6 mil. Kč z perspektivy celospolečenské a 6,7 mil. Kč z perspektivy vládní).

Uvedené výsledky nezohledňují nově uzavřená finanční ujednání u LPVO MINJUVI. Při jejich zohlednění by výsledky byly příznivější.

Při posuzování předpokládaného dopadu do rozpočtu zohledňujícího veřejný zájem poradní orgán shledal, že po metodické stránce předložené analýzy dopadu na rozpočet vyhovují standardům Ústavu, resp. metodice SP-CAU-27.

Analýza dopadu na rozpočet LPVO MINJUVI v kombinaci s lenalidomidem z perspektivy plátců zdravotního pojištění ve srovnání s režimy R-GD, PolaBR, CAR-T přípravky YESCARTA a KYMRIA, glofitamabem a lonkastuximab tesirinem odhaduje 25 pacientů

ročně zahajujících léčbu LPVO MINJUVI v 1.–5. roce a ukazuje výsledek ve výši 10,1 až 67,8 milionů Kč v prvních pěti letech.

Celkové náklady na léčbu 1 pacienta léčeného LPVO MINJUVI představovaly v prvních 5 letech léčby celkem 4 304 022 Kč (z toho 1 995 914 Kč v prvním roce), na pacienta léčeného R-GD 129 571 Kč, na pacienta léčeného PolaBR 1 294 150 Kč, na pacienta léčeného LP YESCARTA 7 795 478 Kč ve 2. linii a 7 795 303 Kč ve 3+. linii, na pacienta léčeného LP KYMRIA 8 334 445 Kč, na pacienta léčeného LP COLUMVI 1 850 927 Kč a na pacienta léčeného LP ZYNLONTA 3 238 908 Kč. Reálné náklady jsou u některých komparátorů v důsledku existence finančních ujednání odlišné, při jejich zohlednění by byl odhadovaný dopad na rozpočet vyšší. Relevantní aktualizované analýzy dopadu na rozpočet z celospolečenské a vládní perspektivy předloženy nebyly.

Uvedené výsledky nezohledňují nově uzavřená finanční ujednání u LPVO MINJUVI, s jejichž výsledky byl poradní orgán seznámen v režimu obchodního tajemství. Při jejich zohlednění by výsledky byly příznivější.

Při zhodnocení podmínek úhrady z prostředků zdravotního pojištění Ústav vycházel z návrhu žadatele k podmínkám úhrady, který je v souladu se zněním platného SmPC, a přikročil k jejich upřesnění ve smyslu specifikace nepředléčenosti CAR-T terapií (v souladu s registrační studií) a doplnění maximálního hrazeného počtu podaných cyklů, a to v souladu s designem registrační studie. Dále Ústav v indikačním omezení blíže upřesnil hodnocený kombinační režim tafasitamab + lenalidomid.

Dle ustanovení § 39b odst. 10 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění a ustanovení § 34 odst. 1 písm. a) a b), § 34 odst. 2 a § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. Ústav navrhuje stanovit tyto podmínky úhrady (změny jsou vyznačeny **tučně**):

S

P: Tafasitamab je hrazen v kombinaci s lenalidomidem a následně v monoterapii k léčbě dospělých pacientů s relabujícím či refrakterním difúzním velkobuněčným B lymfomem (s výjimkou primárně refrakterního onemocnění s progresí do 3 měsíců od zahájení terapie první linie), kteří nejsou způsobilí pro autologní transplantaci kmenových buněk se stavem výkonnosti dle ECOG 0-2 a byli léčeni alespoň jednou linií léčby, a kteří nejsou předléčení CAR-T terapií. Léčba je hrazena po dobu nejvýše 12 cyklů, v případě nutnosti ukončení léčby lenalidomidem dříve než po 12 cyklech léčby je možné pokračovat v podávání monoterapie tafasitamabem. Léčba je hrazena do progresu onemocnění či netolerované toxicity.

Indikační omezení:

Ústav navrhl stanovit podmínky úhrady v souladu s návrhem žadatele a se zněním platného SmPC a terapeutických doporučení. Ústav dále (v souladu s designem registrační studie) z úhrady vylučuje rovněž pacienty předléčené CAR-T terapií a pacienty s primárně refrakterním onemocněním (kteří nebyli v registrační studii hodnoceni), přičemž lze předpokládat negativní ovlivnění výstupů terapie právě předchozím použitím na CD19 cílené terapie CAR-T.

Dále, jelikož pro terapii tafasitamabem v kombinaci s lenalidomidem je podáváno nejvýše 12 cyklů a pro následnou monoterapii tafasitamabem není předepsán konkrétní počet

předepsaných cyklů, přičemž progresse či nepřijatelná toxicita je v obou případech důvodem ukončení léčby, navrhuje Ústav v indikačním omezení tyto skutečnosti specifikovat (v souladu se SmPC).

Po posouzení předložených podkladů a následné rozpravě poradní orgán neshledal stanovení maximální ceny a výše podmínek úhrady LPVO MINJUVI za souladné s veřejným zájmem. Vzhledem k tomu, že pro stanovení úhrady byl při hlasování stejný počet hlasů, jako proti stanovení úhrady, nebyla zajištěna většina hlasů pro stanovení úhrady a v souladu s Jednací řádem poradního orgánu² bylo konstatováno, že poradní orgán nedoporučil ministerstvu souhlasit se stanovením úhrady ve výši a za podmínek uvedených v upravené hodnotící zprávě Ústavu.

Poradní orgán rozhodl s vědomím, že ve spisu chybí řada potřebných informací, což konstatuje i Ústav ve své upravené hodnotící zprávě. Někteří členové poradního orgánu vyjádřili pochybnosti ohledně výběru pacientů pro léčbu v první linii, kdy byli specificky vybráni pacienti ve velmi dobrém stavu výkonnosti. Po prostudování důkazů se členové poradního orgánu shodli, že není zřejmé, který z komparátorů bude LPVO MINJUVI, v případě jeho zařazení do systému úhrad z veřejného zdravotního pojištění, nahrazovat. S ohledem na pouze nepřímá srovnání s existujícími terapeutickými alternativami je porovnání účinnosti spojeno s vysokou mírou nejistoty ohledně relativní účinnosti. Nebyly doloženy údaje o vlivu terapie LPVO MINJUVI na kvalitu života léčených pacientů, jelikož tyto údaje nebyly v rámci registrační studie sbírány. Poradní orgán rovněž shledal, že LPVO MINJUVI je zařazen do druhé linie léčby, aniž by bylo specifikováno, za jakých podmínek jej preferovat a v jaké kombinaci. V praxi se tedy aplikuje intuitivně dle osobního názoru ošetřujícího hematologa. Poradní orgán konstatuje, že navrhovaná nová léčba není zatím natolik rozšířená, aby se dostala do doporučených postupů s jednoznačnou definicí a postavením v terapeutickém schématu. Předložená analýza nákladové efektivity neodpovídá standardům Ústavu.

Nedostatek důkazů o účinnosti vnímá poradní orgán jako stěžejní a stejně znepokojivě vnímá i nejistotu v rámci managementu léčby. Studie jsou podle členů poradního orgánu neprůkazné a srovnání s komparátory je zatíženo velkou nejistotou. Část členů poradního orgánu byla ochotna od těchto nedostatků odhlédnout a hlasovala pro zařazení do systému úhrad z veřejného zdravotního pojištění, protože čistě z finančního pohledu vstupuje LPVO MINJUVI mezi komparátory za obdobných podmínek a neznamená tedy nutně navýšení ceny. Tito členové poradního orgánu však při hlasování nezískali potřebnou většinu hlasů, proto se poradní orgán přiklonil k negativnímu závěru. Vzhledem k tomu, že příští rok (2026) má být dokončena a vyhodnocena jedna ze dvou aktuálně realizovaných studií, lze předpokládat, že výsledky by mohly chybějící důkazy doplnit a žádost by mohla být znovu podána.

² (13) Platí, že Poradní orgán se stanovením úhrady souhlasí, pouze pokud je pro tuto možnost odevzdána nadpoloviční většina hlasů. Zdroj: Příkaz ministra č. 33/2024/PM, Dodatek č. 2 k příkazu ministra č. 53/2021 „Poradní orgán pro úhradu léčiv určených k léčbě vzácných onemocnění – Statut a Jednací řád“.

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. sukl257563/2025 ze dne 30. 6. 2025.

Ministerstvo plně souhlasí s doporučením poradního orgánu (viz výše) a stejně jako tento orgán vnímá, že důkazy ve spise vzbuzují řadu nejistot. V oblasti klinické lze například poukázat na studii L-MIND, která byla základem pro (podmínečnou) registraci LPVO MINJUVI. Tato studie je jednoramenná, nezaslepená a používá zástupný parametr ORR (objektivní odpověď) jako primární výstup, což zvyšuje riziko nadhodnocení účinnosti léčby. Ministerstvo rovněž považuje za problematická chybějící data o kvalitě života pacientů léčených tafasitamabem (účinnou látkou LPVO MINJUVI), což dále oslabuje důvěryhodnost přínosu léčby. Z důkazů ve spise také vyplynulo, že výsledky z klinické praxe v USA ukazují na horší výstupy než ve studii L-MIND, což zpochybňuje přenositelnost výsledků do reálného prostředí.

Nelze opomenout ani ekonomické a rozpočtové dopady, kdy zdravotní pojišťovny, zejména VZP, upozorňují na neúplné srovnání s relevantními komparátory, což může vést k neobjektivnímu hodnocení nákladové efektivity. Znepokojivě je vnímáno i upozornění účastníků řízení (např. VZP) na nedostatečné zohlednění jejich připomínek v hodnotící zprávě.

Vzhledem k výše popsaným nejistotám a v souladu s rozhodnutím ministerstva v obdobných případech v minulosti se ministerstvo přiklonilo k doporučení poradního orgánu.

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