



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

Praha, (datum uvedeno v doložce e-podpisu)

Č. j.: MZDR 16353/2025-5/MIN/KAN



MZDRX01WM38E

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

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0272690	WINREVAIR	45MG INJ PLV SOL 1
0272691	WINREVAIR	45MG INJ PLV SOL 2
0272692	WINREVAIR	60MG INJ PLV SOL 1
0272693	WINREVAIR	60MG INJ PLV SOL 2

(dále jen „LPVO WINREVAIR“)

vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) pod sp. zn. SUKLS273924/2024,

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**“)

Merck Sharp & Dohme B.V., Waarderweg 39, 2031 BN Haarlem, Nizozemské království,

Zastoupena: **Merck Sharp & Dohme s.r.o.**, se sídlem Na Valentince 3336/4, 15000

Praha 5, IČ: 28462564 (dále též jen „**MAH**“)

Česká kardiologická společnost, z.s.,

se sídlem Netroufalky 814/6b, Bohunice, 625 00 Brno, IČ: 60166789 (dále též jen „**odborná**

společnost“)

Sdružení pacientů s plicní hypertenzí z.s., se sídlem Wenzigova 1858/13, Nové Město,

120 00 Praha 2, IČ: 27001822, (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 WINREVAIR z prostředků zdravotního pojištění ve výši a za podmínek navržených v upravené hodnotící zprávě Ústavu č. j. sukl256412/2025 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. SUKLS273924/2024 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) WINREVAIR (obsahující léčivou látku sotatercept) je dle SmPC indikován k léčbě plicní arteriální hypertenze (PAH) v kombinaci s jinými terapiemi PAH u dospělých pacientů s funkční třídou dle Světové zdravotnické organizace (WHO FC) II až III ke zlepšení zátěžové kapacity.

Primárním zdrojem klinické evidence je randomizovaná dvojitě zaslepená multicentrická studie fáze III STELLAR, která hodnotila účinnost a bezpečnost sotaterceptu v porovnání s placebem. Sotatercept přidaný k optimální základní terapii (background terapii, BGT) vykazoval klinicky i statisticky významně vyšší účinnost, obdobnou bezpečnost a dobrou snášenlivost, konkrétně prokázal signifikantní zlepšení oproti výchozí hodnotě v týdnu 24 ve vzdálenosti 6minutového testu chůze (6MWD) s rozdílem mezi skupinami 40,8 metru (95 % CI: 27,5 až 54,1; $p < 0,001$). Ve srovnání s placebem + BGT signifikantně více pacientů léčených sotaterceptem splnilo všechna tři kritéria kompozitního parametru (zlepšení 6MWD

o ≥ 30 m; zlepšení/udržení hladiny natriuretického peptidu typu N-terminálního faktoru a zlepšení FC WHO). Dále byl pozorován významný rozdíl v době do první události úmrtí nebo nefatálního klinického zhoršení (kompozitní endpoint) v rameni sotaterceptu ve srovnání s placebem.

Účinnost a bezpečnost sotaterceptu byla potvrzena také ve studii fáze II PULSAR, PULSAR OLE a je v souladu s hodnocením v pokračující studii SOTERIA.

PAH je chronické, vysoce progresivní a potenciálně fatální onemocnění. Prognóza pacientů s PAH zůstává mimořádně závažná, medián přežívání pacientů ve funkčním stadiu NYHA/WHO III je dle historických registrů 2,8 let, ve funkčním stadiu NYHA/WHO IV 6 měsíců. Jeden rok od stanovení diagnózy přežívalo 68 %, 3 roky 48 % a 5 let pouze 34 % pacientů. V současné éře specifické léčby dosahuje přežití v 1. roce 87 % a ve 3 letech 67 % pacientů.

Populace pacientů navržená k úhradě LPVO WINREVAIR trpí nevyléčitelným chronickým onemocněním, které při nedostatečné kontrole léčbou vede k častým hospitalizacím, trvalému závažnému poškození zdraví a omezení až ztrátě pohybu. Pacienti v pokročilém stadiu mají sníženou kvalitu života způsobenou faktory souvisejícími s onemocněním. Mezi hlavní potíže patří motorické potíže, ztráta mobility, pacienti ve WHO FC III mají závažné funkční omezení, dušnost již při malé zátěži a ve FC IV (velmi závažné funkční omezení) trpí dušností již v klidu. Prakticky všichni pacienti s PAH se závažným nebo velmi závažným funkčním omezením bez zlepšení při léčbě vyžadují určitou péči rodiny, alternativně čerpají dávky sociálního zabezpečení. Pacienti s PAH jsou schopni jen lehčí fyzické práce, zejména fyzicky pracující mají proto často přiznanou plnou invaliditu. Pacienti jsou schopni o sebe pečovat pouze částečně a obvykle potřebují dlouhodobou, každodenní podporu, na níž jsou závislí.

PAH vede k trvalému závažnému poškození zdraví, možnému omezení až ztrátě pohybu a má významný vliv na snížení kvality života jak pacientů, tak jejich pečovateli. Roční mortalita je dle vyjádření odborné společnosti 10 %, při nedostatečné kontrole léčbou i vyšší. Progrese funkčního omezení nebo stabilizace ve stavu závažného nebo velmi závažného funkčního omezení je spojena s velmi nepříznivou prognózou. Nemocní jsou opakovaně hospitalizováni pro srdeční selhání, většinou na odd. intenzivní péče. Část z nich je indikována k transplantaci plic nebo kombinované transplantaci srdce a plic.

Při posuzování nahraditelnosti posuzovaného přípravku jinými léčebnými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění byl poradní orgán seznámen s tím, že z odborné literatury i z expertního vyjádření (předloženo Ústavu v režimu obchodního tajemství) vyplynulo, že relevantním komparátorem v posuzované indikaci je nejlepší podpůrná terapie. Sotatercept představuje add-on terapii k nejlepší podpůrné péči, resp. background terapii (BGT), kterou u pacientů ve vysokém riziku či s vyšším středním rizikem představuje trojkombinační léčba a v nižším středním riziku stávající dvojkombinační terapie dostupnými přípravky pro terapii PAH (v ojedinělých případech i monoterapie, když pacienti současnou léčbu netolerují).

Ve stávající trojkombinaci BGT jsou v ČR používány zejména: antagonisté prostacyklinového receptoru (ERA) + inhibitory fosfodiesterázy 5 (PDE5i) + analoga prostacyklinu (PCA) i.v./s.c. anebo ERA + stimulatory fosfodiesterázy (sGCs) + PCA i.v./s.c. (v případě potřeby lze sGCs switchovat za PDE5i).

Ve dvojkombinaci BGT jsou v ČR používány ERA+PDE5i nebo ERA + sGCs (u pacientů, kteří nemohou mít prostanoidy).

Sotatercept je dle vyjádření odborné společnosti s odkazem na modifikovaný algoritmus stávajících doporučení začleněn jako doporučená kombinační léčba u pacientů, u nichž iniciační léčba nevedla k dosažení nízkorizikového profilu dle klinických doporučení (ESC/ERS). Vzhledem k mechanismu účinku (antiremodelační působení) a silné evidenci vysoké účinnosti a dobrém bezpečnostním profilu je doporučená pozice sotaterceptu v navrženém terapeutickém algoritmu nenahraditelná.

Sotatercept + BGT proti terapii BGT + placebo na základě registrační studie STELLAR (datum registrace: 22. 8. 2024) prokázal statisticky a klinicky významně vyšší účinnost (v prim. parametru změna 6MWD v týdnu 24 rozdíl 40,8 m (95 % CI: 27,5-54,1; p <0,001) a obdobnou bezpečnost.

Z podkladů ve spise lze vyvodit, že LP bude mít klinický význam v praxi a v případě dostupnosti a úhrady, bude v nejbližší době preferovanou možností terapie u dospělých pacientů s plicní arteriální hypertenzí s funkční třídou dle WHO (WHO FC) II až III v kombinaci s BGT PAH.

Při posouzení celospolečenského významu možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění z Upravené hodnotící zprávy vyplynulo, že celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění spočívá v zastavení progresu funkčního onemocnění, zlepšení špatné prognózy, zlepšení kvality života pacientů, snížení hospitalizací a morbidit.

Předložené důkazy naznačují, že léčba posuzovaným LPVO vedla k prodloužení života a udržení jeho kvality díky zlepšení funkčního stavu pacienta (včetně poklesu do nižší FC), zlepšení fyzických dopadů (test chůze), kardiopulmonálních symptomů a redukci hospitalizací.

Uvedené benefity lze dle dostupných informací považovat za klinicky významné. Dle výsledků studie STELLAR pacienti léčení sotaterceptem přidaným ke stávající terapii zůstávají výrazně delší dobu ve zdravotních stavech s nižší závažností dle WHO FC než pacienti v rameni placebo.

Aktuální roční incidence dle odborné společnosti (ČKS) činí 8,5 nových případů na milion dospělé populace, prevalence 49,6 případů na milion dospělé populace. Aktuálně lze v ČR očekávat zhruba 500 pacientů s PAH. Odhad počtu vhodných pacientů lze dovodit z aktuálního počtu nemocných s PAH léčených dvoj – a trojkombinací specifické léčby ve funkční třídě NYHA III a z aktuálního počtu pacientů ve funkční třídě NYHA II ve zvýšeném riziku progresu, celkově 340-350 nemocných.

Zhodnocení dopadu léčby onemocnění PAH na sociální zabezpečení bylo součástí sběru dat v rámci neinterventní studie se zařazením pacientů ze 2 hlavních center pro léčbu PAH v ČR. Z dat ve studii plyne, že dopad na systém sociálního zabezpečení lze, i ve srovnání s dopadem na systém zdravotního pojištění (popsaným níže), odhadovat jako významný, jak plyne např. z tabulky 1 v hodnotící zprávě Ústavu. Celková ztráta pracovní produktivity (work impairment) vlivem absentismu a presentismu byla 30,5 %. Náklady na zdravotní péči, zdravotní pomůcky a sociální náklady (včetně nákladů na neformální péči) nejsou zanedbatelné a významně zatěžují rodinné zdroje.

Při posuzování prokazatelného přínosu na zlepšení kvality života pacienta, bylo ze spisu zjištěno, že pacienti s PAH mají závažné symptomy, s negativním vlivem na jejich kvalitu života i kvalitu života jejich pečovateli. V podkladové studii STELLAR byla sledována kvalita života pomocí hodnocení Skóre domény fyzických dopadů a kardiopulmonálních příznaků nástroje kvality života PAH-SYMPACT. Léčba sotaterceptem vedla ke statisticky signifikantnímu zlepšení v parametru fyzické dopady a kardiopulmonální symptomy oproti placebo, přičemž kvalita života se v obou ramenech snižovala se zvyšující se WHO FC a závažností onemocnění. Pacienti v rameni sotaterceptu zůstávali podstatně delší dobu ve WHO FC zdravotních stavech s nižší závažností než pacienti v rameni placebo. V případě kognitivních/emocionálních dopadů došlo k numerickému zlepšení bez statistické významnosti.

Výsledky měření kvality života pomocí EQ-5D-3L předložené žadatelem (v režimu OT) rovněž naznačují, že u pacientů léčených sotaterceptem se průměrné skóre EQ-5D-3L ve srovnání s placebem po 24 týdnech studie zvýšilo.

Kvalita života byla měřena v rámci neintervenční studie z ČR pomocí nástroje EQ-5D-5L a EQ-5D VAS, prokazující rozdíly mezi WHO FC, přičemž rovněž potvrdila zhoršování kvality života se zvyšující se WHO FC.

S ohledem na výše uvedené lze považovat za prokázané, že léčba předmětným přípravkem vede ke zlepšení kvality života pacienta.

Při posouzení reálných možností pro zajištění poskytování úspěšné a efektivní léčby v síti poskytovatelů zdravotních služeb byl poradní orgán seznámen s tím, že se v České republice nachází tři specializovaná centra na léčbu plicní hypertenze – II. interní klinika Všeobecné fakultní nemocnice v Praze, Kardiologická klinika IKEM a I. interní klinika FN Olomouc. Centrum ve VFN v Praze je jako jediné součástí Evropské referenční sítě ERN LUNG a má statut Centra vysoce specializované péče o vzácná onemocnění. Síť center pro diagnostiku a léčbu PAH v ČR je z hlediska kapacity a expertízy zcela dostatečná.

V České republice jsou dle odborné společnosti používány Doporučené postupy Evropské kardiologické společnosti (ESC)/Evropské respirační společnosti (ERS) pro diagnostiku a léčbu plicní hypertenze z roku 2022, které mají i svůj oficiální překlad zkráceného dokumentu ESC/ERS.

Sotatercept zatím není součástí algoritmu léčby v ESC/ERS guidelines. V rámci 7. Celosvětového symposia plicní hypertenze 2024, byl navržen nový léčebný algoritmus pro léčbu PAH (Chin et al., 2024). Pozice „activin-signalling“ inhibitorů (sotatercept) je navržena u pacientů s nižším středním, vyšším středním a vysokým rizikem, a to po iniciální léčbě a zhodnocení rizika. Aktuální přehledy (review) Kopeć et al., 2024 uvádí revidovaný algoritmus léčby navazující na výše uvedený (Chin et al., 2024), v němž je sotatercept nově součástí léčby ve druhé linii léčby u pacientů s alespoň nižším středním rizikem (intermediate-low risk).

Tato doporučení jsou součástí spisové dokumentace. Výše uvedená aktualizace terapeutického algoritmu je obsažena v aktuálním odborném stanovisku Pracovní skupiny plicní cirkulace ČKS.

Při projednání analýzy nákladové efektivity Ústav poradní orgán informoval, že po metodické stránce předložené analýzy vyhovují standardům Ústavu, resp. metodice SP-CAU-28.

K výsledku Ústav v upravené hodnotící zprávě uvedl, že na základě modelace v celoživotním horizontu v základním scénáři se inkrementální benefit léčivého přípravku WINREVAIR v kombinaci s BGT jeví 4,553 QALY a 7,245 LYG a inkrementální náklady 59 217 280 Kč ve srovnání se samotnou BGT se zastoupením jednotlivých režimů dle studie STELLAR (terapeutický mix).

Inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) je tedy ve výši 13 005 906 Kč/QALY.

Ve srovnání s jednotlivými dvoj- a trojkombinačními režimy se pak inkrementální náklady pohybují v rozmezí 55 332 953 Kč až 58 958 593 Kč při zachování výše uvedeného inkrementu přínosů, inkrementální poměr nákladů a přínosů (ICER) se tedy pohybuje v rozmezí 12 152 791 Kč/QALY až 12 949 091 Kč/QALY. V případě celospolečenské perspektivy jsou pak inkrementální náklady ve srovnání s BGT (terapeutický mix) o 900 418 Kč nižší oproti perspektivě z pohledu plátce a ICER tak činil 12 808 147 Kč/QALY. V případě vládní perspektivy jsou pak inkrementální náklady ve srovnání s BGT (terapeutický mix) o 1 215 233 Kč nižší oproti perspektivě z pohledu plátce a ICER tak činil 12 739 004 Kč/QALY. Samostatné scénáře oproti jednotlivým režimům u ostatních perspektiv zvlášť žadatel nepředložil. Výsledek analýzy z celospolečenské a vládní perspektivy je obdobný výsledku analýzy z pohledu plátce. Uvedené výsledky nezohledňují uzavřená finanční ujednání, která byla poradnímu orgánu předložena v režimu obchodního tajemství. Při jejich zohlednění jsou výsledky příznivější, než jak uvádí upravená hodnotící zpráva Ústavu.

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 léčivého přípravku WINREVAIR v kombinaci s BGT z perspektivy plátce ve srovnání s komparátorem BGT odhaduje 58 až 213 léčených pacientů v 1.–5. roce a ukazuje výsledek ve výši 244,0 až 878,9 milionů Kč v prvních pěti letech. Celkové náklady na jednoho pacienta léčeného LP WINREVAIR jsou 20 355 680 Kč, léčeného BGT jsou 3 624 920 Kč (za 5 let). Analýza dopadu na rozpočet z celospolečenské perspektivy ukazuje výsledek 240,5 až 856,9 mil. Kč v prvních pěti letech a z vládní perspektivy ukazuje výsledek 243,0 až 866,7 mil. Kč v prvních pěti letech. Uvedené výsledky nezohledňují uzavřená finanční ujednání, které bylo poradnímu orgánu předloženo v režimu obchodního tajemství. Při jeho zohlednění jsou výsledky příznivější.

Při zhodnocení podmínek úhrady z prostředků zdravotního pojištění Ústav navrhl stanovit indikační omezení v souladu s návrhem žadatele včetně zpřesnění s ohledem na aktuální odborné stanovisko ČKS. Cílová skupina pacientů, pro kterou je navrhována úhrada, je v souladu s populací pacientů, pro niž byla prokázána účinnost a bezpečnost sotaterceptu v podkladové studii STELLAR a s registrovanou indikací dle SmPC i s použitím dle klinických doporučení a expertního stanoviska.

Dle § 39b odst. 10 písm. a) a c) zákona o veřejném zdravotním pojištění a § 34 odst. 1 písm. b) a c) a odst. 2 a § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. Ústav navrhuje stanovit tyto podmínky úhrady:

S

P: Sotatercept je hrazen k léčbě plicní arteriální hypertenze (PAH) (plicní arteriální hypertenze skupiny 1) v kombinaci s jinými terapiemi PAH u dospělých pacientů s funkční třídou dle WHO (WHO FC) II až III při zahájení léčby sotaterceptem, kteří jsou minimálně 3 měsíce léčeni specifickou terapií PAH dle platných indikačních omezení.

Úspěšnost terapie bude pravidelně přehodnocována po 6 měsících od zahájení léčby sotaterceptem.

V léčbě nebude pokračováno, pokud z ní pacient, dle vyhodnocení ošetřujícího lékaře, již neprofituje (např. terminální stádium onemocnění PAH, pacient po transplantaci plic nebo srdce a plic), nebo nastane výskyt závažných klinicky nevladatelných nežádoucích účinků souvisejících s léčbou.

Ústav navrhuje podmínky úhrady s ohledem na znění platného SmPC léčivého přípravku WINREVAIR, doporučené postupy, stanovisko odborné společnosti, odpovědi expertů a výsledky registračních studií, zohledňující zpřesnění skupiny plicní hypertenze (dle platné WHO klasifikace), doby předléčení specifickou PAH terapií a zpřesnění ukončení léčby dle návrhu žadatele ze dne 14. 5. 2025. Uvedené upřesnění zohledňuje skutečnost, že dle aktuálních doporučených postupů by pacienti měli být minimálně 3-4 měsíce před nasazením léčby sotaterceptem předléčení jinou PAH specifickou terapií. 3měsíční předléčení je také v souladu s inclusion/exclusion kritérii klinické studie STELLAR. Z nově navrhovaného indikačního omezení obsahující doplnění slovního spojení „platných indikačních omezení“ jednoznačně vyplývá, že pacienti zahajující léčbu LPVO WINREVAIR ve WHO FC II museli být léčeni dle platných podmínek úhrady, resp. zahájit léčbu ve WHO FC III. Ústav uvádí, že navrhovaná doplnění jsou klinicky odůvodněná a jedná se pouze o upřesnění indikačního omezení podmínek úhrady bez dopadu na klinickou praxi či navýšení počtu léčených pacientů.

Ústav v souladu s návrhem žadatele uvádí v indikačním omezení kritéria pro ukončení léčby a pravidelné přehodnocení léčby každých 6 měsíců. Dle ESC/ERS guidelines by všichni pacienti měli být přehodnoceni za 3-6 měsíců po nasazení iniciační terapie. Kontrolní vyšetření kardiologem – vyšetření v rámci centra dle expertního dotazování (OT) ve FC II a III by mělo probíhat 4x/rok). Pacienti mohou v léčbě pokračovat pouze v případě, že z léčby budou profitovat ve smyslu účinnosti, nebo pokud u nich nenastanou klinicky nevladatelné nežádoucí účinky související s léčbou. Kritéria pro ukončení léčby jsou tak v souladu s protokolem klinické studie STELLAR, kde bylo ukončení léčby na zvážení lékaře).

Po posouzení předložených podkladů a následné rozpravě poradní orgán shledal stanovení maximální ceny a výše podmínek úhrady LPVO WINREVIAR za souladné s veřejným zájmem a většinou hlasů 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 vzhledem k mechanismu účinku (antiremodelační působení), silné evidenci vysoké účinnosti a dobrém bezpečnostním profilu, je doporučená pozice sotaterceptu v navrženém terapeutickém algoritmu nenahraditelná. Důkazy ve spisu přesvědčily většinu členů poradního orgánu o tom, že LPVO WINREVAIR prokázal nejenom statisticky, ale i klinicky významně vyšší účinnost než dosavadní léčba, což dospělým pacientům trpícím nevyléčitelným chronickým onemocněním poskytuje jednoznačně významné snížení progresu funkčního omezení, prodloužení délky dožití, a to s vyšší kvalitou života. Z hlediska zdravotního systému je pak benefit prokázán snížením častých hospitalizací pacientů s plicní arteriální hypertenzí s funkční třídou dle WHO (WHO FC) II až III v kombinaci s BGT PAH.

Poradní orgán si je vědom vysokých nákladů a dopadu do rozpočtu, kdy hodnota inkrementu QALY sotaterceptu je srovnatelná s hodnotou u některých dříve doporučených LPVO pro pediatrické indikace, často používaných od narození a v dlouhodobém časovém horizontu, nicméně se po posouzení předložených důkazů přiklonil k názoru řady dalších zahraničních HTA agentur, které vesměs rovněž i přes vysoké náklady zařazení do systému úhrad z veřejného zdravotního pojištění doporučily. K tomuto rozhodnutí přispěly i výsledky uzavřených smluvních ujednání, s jejichž výsledky byli členové seznámeni v režimu obchodního tajemství, a díky nimž lze konstatovat, že dopady do rozpočtu budou příznivější, než jak uvádí upravená hodnotící zpráva Ústavu.

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. sukl256412/2025 ze dne 30. 6. 2025.

Ministerstvo se plně ztotožňuje s doporučením vyjádřeným poradním orgánem (viz výše) a stejně jako poradní orgán vnímá, že důkazy ve spise prokázaly účinnost LPVO s minimem nežádoucích účinků pro dospělé pacienty s funkční třídou dle WHO (WHO FC) II až III.

Plicní arteriální hypertenze (PAH) je vzácné chronické, vysoce progresivní, potenciálně fatální onemocnění plicního oběhu vedoucí k selhání pravé komory srdeční, jehož symptomy jsou progresivně se zhoršující námahová dušnost, suchý dráždivý kašel, malá fyzická výkonnost, únava, vyčerpanost, závratě, mdloby, bolest na hrudi a infekce dolních cest dýchacích. V pozdějších fázích onemocnění se přidávají palpitace a hemoptýza, které vedou k dysfunkci pravé komory, srdečnímu selhání a úmrtí. Vzhledem k nespecifickým symptomům je onemocnění zachyceno až v závažnějších stádiích, což má velmi negativní dopad na jeho prognózu. Dle údajů z českého registru REPLY je průměrná doba od prvních symptomů do diagnózy pacienta 29,4 měsíců.

Z historických registrů vyplývá, že medián přežívání pacientů ve funkčním stadiu NYHA/WHO III je 2,8 let, ve funkčním stadiu NYHA/WHO IV 6 měsíců. Jeden rok od stanovení diagnózy přežívalo 68 %, 3 roky 48 % a 5 let pouze 34 % jedinců. V současné éře specifické léčby je na základě výsledků registrů a metaanalýz evidentní pozitivní vliv na prognózu pacientů a jejich přežívání, které dosahuje v 1. roce 87 % a ve 3 letech 67 %.5 Pravděpodobnost přežití v ČR je udávána 88 % (1. rok), 67 % (3. rok) a 53 % (5 let) a data jsou konzistentní se zahraničními údaji.

Ministerstvo posoudilo důkazy ve spise, jež svědčí o unikátním léčebném účinku sotaterceptu s klinickou evidencí vysoké účinnosti i bezpečnosti a s přihlédnutím k celé řadě dalších nákladů spjatých s PAH (těžké symptomy, rychlá progrese, předčasné úmrtí, absentismus, dávky, sociální péče, hospitalizace, péče neformálních pečujících apod.), a je v souladu s doporučením poradního orgánu toho názoru, že stanovení výše a podmínek úhrad LPVO WINREVAIR dle návrhu Ústavu je v celospolečenském zájmu.

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