

# Dostupnost IMNL v České republice z pohledu pacientů se vzácným onemocněním

Dostupnost inovativní a mimořádně nákladné léčby v České republice - 9. 10. 2024, Praha

**Mgr. Simona Zábranská**



# Co stále platí pro většinu VO ☹️

- ☹️ Předčasně umírají
- ☹️ Zažívají nerovnosti
- ☹️ Nemají přístup k účinné léčbě

6 000 a více  
diagnóz VO

70% VO se  
projevuje v  
dětství

Diagnostická  
odysea průměrně  
trvá 5 let

Chybí data a  
zkušenosti

Lidé s VO nejsou  
integrováni do  
společnosti

Dopad na  
každodenní život

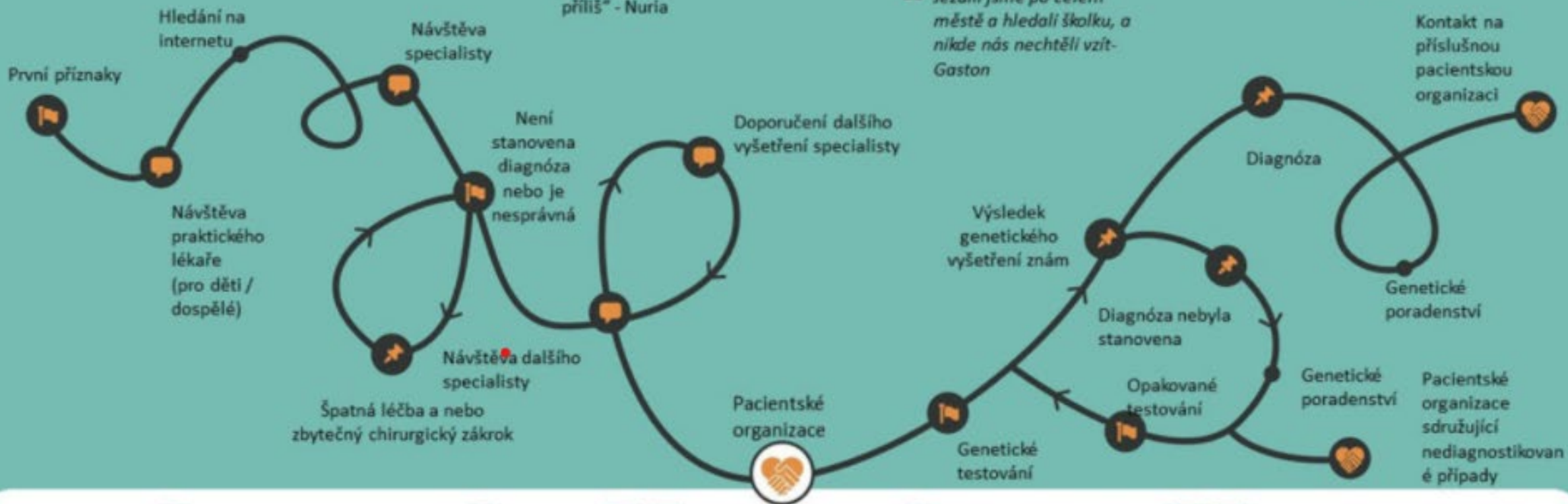
Nemají  
odpovídající péči,  
léčbu

Jen 6% má  
cílenou léčbu

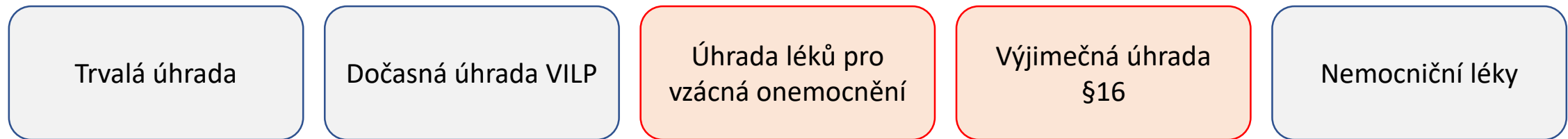
500 000 pacientů  
v ČR (odhad)

# „Diagnostická odysea“

## Cesta pacienta k diagnóze



# Cesta orphanů a IMNL k pacientům a jejich přímé zkušenosti



## Pacientská organizace:

- Pacientská zkušenost při posuzování ve správním řízení při SÚKL
- Pacientská zkušenost v rozhodování v Pacientském orgánu

## Pacient:

- Pacientská zkušenost při podávání žádosti, odvolání
- Pacientská organizace:
- Pomoc (odborná, procesní, právní) svým členům

# Úhrada léků pro vzácná onemocnění



Nová „orphan“ systémová cesta schvalování výše úhrady LPVO

Od 1. 1. 2022 (§39da z 48/1997 Sb)

Účast pacientů (patientská organizace ze seznamu MZ odpovídající legislativním požadavkům) v 1. fázi správního řízení na SÚKL

Účastní se příslušná patientská organizace nebo ČAVO (převážně velmi vzácné diagnózy)

Účast vybraných zástupců pacientů (proškolených HTA) ve 2. fázi správního řízení v Poradním orgánu na MZ

Celkem již zahájeno 42 správních řízení



# Správní řízení LPVO za účasti PO /ČAVO

	SPZN / Typ SŘ	Přípravek	Žadatel	Pacientská organizace	Zahájeno	Úhrada	Stav řízení
42	SUKLS251154/2024	TAVNEOS 10MG CPS	Vifor/ CSL Behring	ČAVO	30.09.2024	ne	Opatřování
41	SUKLS160389/2024	XOSPATA 40MG TBL	Astellas Pharma Europe B.	Amelie	28.06.2024	ne	Přerušeno
40	SUKLS154847/2024	ASPAVELI 1080MG INF	Swedish Orphan Biovitrum	ČAVO	21.06.2024	ne	Přerušeno
39	SUKLS145343/2024	MINJUVI 200MG INF PLV	Incyte Biosciences Distribu	Amelie	12.06.2024	ne	Přerušeno
38	SUKLS136266/2024	GIVLAARI 189MG/ML INJ	Alnylam Netherlands B.V	ČAVO	31.05.2024	ne	Opatřování
37	SUKLS123111/2024	TIBSOVO 250MG TBL	Les Laboratoires Servier,	Amelie	17.05.2024	ne	Sloučeno
36	SUKLS103005/2024	SKYCLARYS 50MG CPS	VZP	Frieda	24.04.2024	ne	Opatřování
35	SUKLS79560/2024	LIVMARLI 9,5MG/ML	Mirum Pharmaceuticals Int	ČAVO	31.03.2024	ne	Přerušeno
34	SUKLS75487/2024	PEMAZYRE(3 balení)	Incyte Biosciences Distribu	Amelie	26.03.2024	ne	Přerušeno
33	SUKLS72107/2024	KAFTRIO(2 balení)	Vertex Pharmaceuticals (Ire	Klub CF	22.03.2024	ne	Přerušeno
32	SUKLS52721/2024	FINTEPLA 2,2MG/ML	UCB PHARMA SA	ČAVO	29.02.2024	ne	Přerušeno
31	SUKLS49084/2024	AMVUTTRA 25MG INJ	Alnylam Netherlands B.V	ČAVO	26.02.2024	ne	Přerušeno
30	SUKLS7580/2024	TIBSOVO 250MG TBL	Les Laboratoires Servier,	Amelie	10.01.2024	ne	Přerušeno
29	SUKLS308814/2023	HEPCLUDEX 2MG INJ	Gilead Sciences Ireland UC	ČAVO	27.12.2023	ne	UKO
28	SUKLS305546/2023	SOLIRIS 300MG INF	Alexion Europe SAS	ČAVO	20.12.2023	ne	UKO
27	SUKLS306216/2023	REVESTIVE(2 balení)	Takeda Pharmaceuticals Ir	ČAVO/Život bez	20.12.2023	ano	ROZ
26	SUKLS301635/2023	TEPKINLY(2 balení)	AbbVie Deutschland GmbH	Amelie	15.12.2023	ne	Závazné
25	SUKLS295286/2023	AYVAKYT(3 balení)	Blueprint Medicines (Nethe	ČAVO	07.12.2023	ne	Čekání na
24	SUKLS276408/2023	LIVTENCITY(2 balení)	Takeda Pharmaceuticals Ir	ČAVO	15.11.2023	ne	UKO
23	SUKLS253339/2023	BYLVAY(4 balení)	Ipsen Pharma S.A.S	ČAVO	20.10.2023	ne	Závazné
22	SUKLS241413/2023	ISTURISA(2 balení)	Recordati Rare Diseases	ČAVO	06.10.2023	ne	UKO
21	SUKLS224158/2023	COLUMVI(2 balení)	Roche Registration GmbH	Amelie	15.09.2023	ano	ROZ – NPM
20	SUKLS181711/2023	KINPEYGO 4MG CPS	STADA Arzneimittel AG	ČAVO	28.07.2023	ne - zamítnuto	ROZ – NPM
19	SUKLS166094/2023	CABLIVI 10MG INJ PSO	Ablynx NV	ČAVO	11.07.2023	ano	ROZ – NPM
18	SUKLS127032/2023	VYVGART 20MG/ML INF	argenx BV	MYGRA-CZ	26.05.2023	ne - zamítnuto	UKO
17	SUKLS82811/2023	SOLIRIS 300MG INF	Alexion Europe SAS	MYGRA-CZ	31.03.2023	ne - zamítnuto	UKO

**Od 1. 1. 2022**

42 SŘ

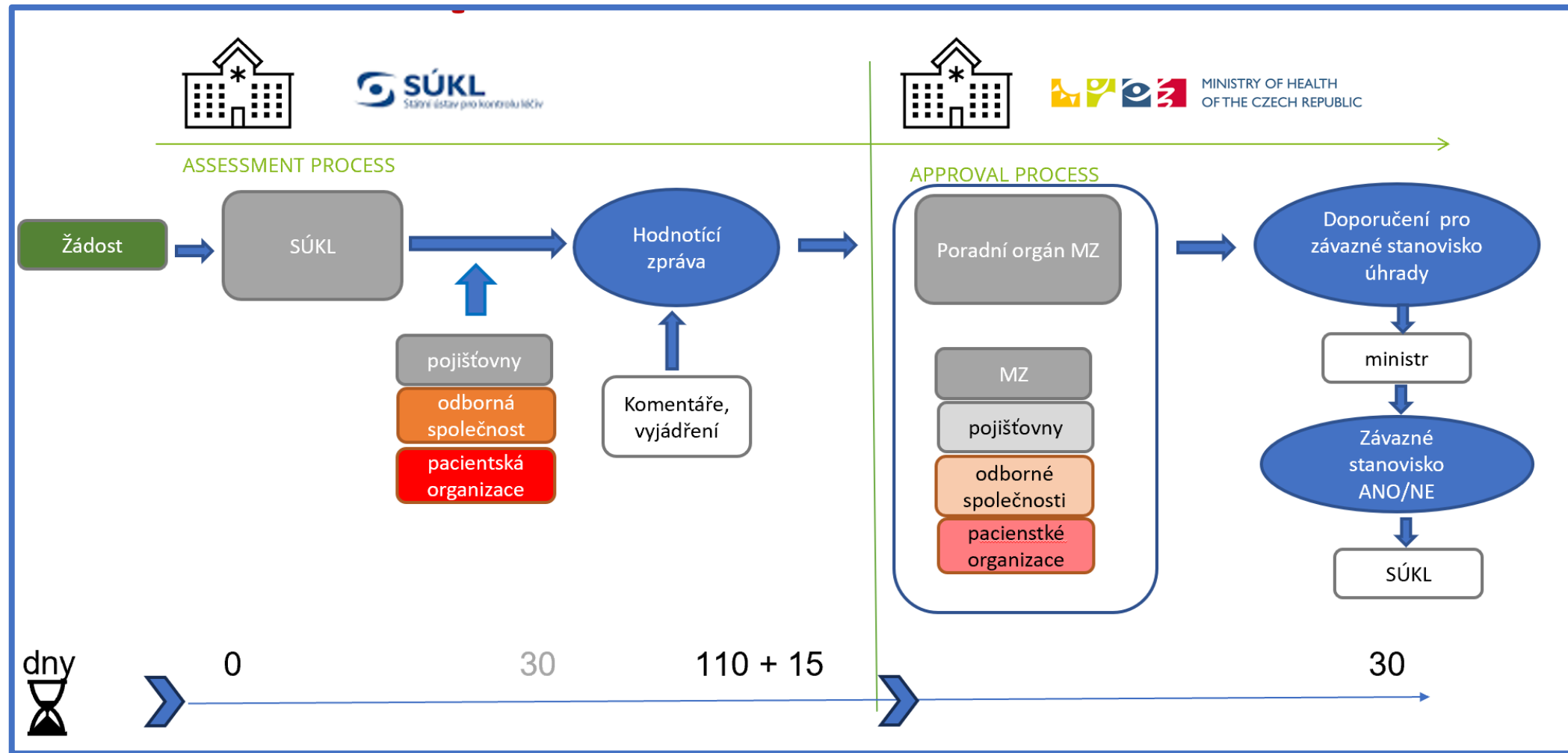
- Všech se účastní PO
- 16 schváleno
- 5 zamítnuto
- 21 v procesu

# Správní řízení LPVO za účasti PO /ČAVO

16	SUKLS284354/2022	ADCETRIS 50MG INF PLV CSL 1	TAKEDA PHARMA A/S	Amelie	13.12.2023	ano	27.02.2024 16:06	ROZ – NPM
15	SUKLS282064/2022	EPIDYOLEX 100MG/ML POR SOL 1X100ML+4STŘ+2AD	GW Pharma (International) B.	ČAVO/EPICANA	13.03.2024	ano	13.03.2024 18:51	ROZ – NPM
14	SUKLS269850/2022	FINTEPLA 2,2MG/ML POR SOL 1X120ML+AD+4STŘ	Zogenix ROI Limited/UCB	ČAVO/EPICANA	13.11.2023	ano	27.02.2024 16:06	ROZ – NPM
13	SUKLS235088/2022	KIMMTRAK 100MCG/0,5ML INF CNC SOL 1X0,5ML	Immunocore Ireland Limited	ČAVO	06.09.2023	ne - zamítnuto	27.02.2024 16:06	ROZ – NPM
12	SUKLS229753/2022	VOXZOGO(3 balení)	VZP	ČAVO/Paleček	28.05.2024	ano	13.06.2024 17:40	ROZ – NPM
11	SUKLS211268/2022	TAKHZYRO 300MG INJ SOL ISP 1X2ML	Takeda Pharmaceuticals Inter	HAE Junior	13.12.2023	ano	27.02.2024 16:06	ROZ – NPM
10	SUKLS212173/2022	EVRYSDI 0,75MG/ML POR PLV SOL 1+AD+5XSTŘ	Roche Registration GmbH	SMÁci	14.07.2023	ano	06.08.2023 16:01	ROZ – NPM
9	SUKLS180596/2022	KOSELUGO(2 balení)	AstraZeneca AB	ČAVO	12.08.2023	ano	14.08.2023 17:38	ROZ – NPM
8	SUKLS170986/2022	ASPAVELI(2 balení)	Swedish Orphan Biovitrum AB	ČAVO	05.04.2023	ne - zamítnuto	06.08.2023 16:01	ROZ – NPM
7	SUKLS155130/2022	KAFTRIO(2 balení)	Vertex Pharmaceuticals (Irelar	Klub CF	19.01.2024	ano	27.02.2024 16:06	ROZ – NPM
6	SUKLS132358/2022	CRYSVITA(3 balení)	Kyowa Kirin Holdings B.V	ČAVO	07.09.2023	ano	13.09.2023 17:50	ROZ – NPM
5	SUKLS117667/2022	VYNDAQEL 61MG CPS MOL 30X1	Pfizer Europe MA EEIG	ČAVO	21.04.2023	ano	06.08.2023 16:01	ROZ – NPM
4	SUKLS88071/2022	ONIVYDE PEGYLATED LIPOSOMAL 4,3MG/ML INF CNC DIS 1X10ML	Les Laboratoires Servier	Amelie	15.02.2023	ano	06.08.2023 16:01	ROZ – NPM
3	SUKLS86076/2022	TREPULMIX(4 balení)	SciPharm Sarl,	Sdružení pacientů	15.03.2023	ano	06.08.2023 16:01	ROZ – NPM
2	SUKLS6832/2022	SPINRAZA 12MG INJ SOL 1X5ML	Biogen Netherlands B.V	SMÁci	06.10.2022	ano	17.10.2022 17:21	ROZ – NPM
1	SUKLS1178/2022	KYPROLIS(3 balení)	Amgen Europe B.V	Klub pacientů mne	-	ne	10.07.2024 17:21	PŘEDBĚŽNÁ VYKONATELNO ST



# Správní řízení pro určení výše úhrady LPVO



# Správní řízení pro určení výše úhrady LPVO



## Zkušenosti/ přínosy

- Nový pohled pro posuzování a rozhodování (přínos a zkušenosti pacientů, pečujících, rodiny, vliv na život pacienta ve společnosti)
- Přínos pro ostatní stakeholdery (jiná perspektiva vnímání přínosu terapií)
- Neocenitelná zkušenost pro PO
  - Náročnost celého procesu schvalování (vidíme jaké úsilí za každým uvedeným lékem je, náročnost posuzování, nároky na bezpečnost, výstupy z klinických studií)
  - Dopad do rozpočtu a efektivita terapií
  - Vzdělávání pacientů
  - Srovnání se zahraničím



# Vyjímečná úhrada přes §16

## Zkušenost pacienta:

- Je účastníkem řízení a i když často realizuje podání žádosti nemocnice, on v případě zamítnutí musí reagovat na rozhodnutí o zamítnutí žádosti (do 15 dnů)
- Vidí náročnost celého procesu, ale často je zcela bezradný jak argumentovat, když on terapii přece potřebuje a je to pro něj jediná možnost
- Velká nejistota zda mu bude schválena léčba (na 3 měsíce)
- Extrémně složité u nákladných terapiích IMNL

# Vyjímečná úhrada přes §16

## Zkušenost patientské organizace:

- Velice frustrující, když někteří členové (u drahých terapií většina pacientů) nezískají úhradu
- PO se snaží pomoci právní konzultací, sestavením postupů, komunikaci s konkrétními pacienty

# Vyjímečná úhrada přes §16 – řešení?

## U velice drahých terapií:

- Shodujeme se s MZ, že je nutné ustanovit pracovní/poradní komisi, která bude
  - pomáhat pacientům/žadatelům se orientovat, ověřit správnost a vhodnost terapie, vysvětlit ve spolupráci s odborníky bezpečnost a možné vedlejší dopady
  - bude též oporou pro plátce
  - Komise/poradní orgán by měla zahrnovat zástupce státu, odborníky i zástupce pacientů
- V současné době PO/ČAVO svým členům nabízí individuální konzultace postupu

[zabranska@klubbcf.cz](mailto:zabranska@klubbcf.cz)  
[cavo@vzacnaonemocneni.cz](mailto:cavo@vzacnaonemocneni.cz)