

Pacienti s VO v nové roli

Vstup LP pro VO do systému úhrad od 1. 1. 2022

Varianta 1: Paragraf 16

Podává každý pacient sám za sebe. Účast v řízení má pacient, ale žádost může podat i lékař. Podává se jenom na pojišťovnu.

Důležité pro podání je:

a) Výjimečný případ / onemocnění, b) není jinak hrazeno c) jediná možnost, jinak život ohrožující.

Může se podat ihned, jakmile EMA nebo FDA schválí. Pojišťovna má 30 dní na odpověď, ale pokud zamítne, pacient se musí do 15 dní odvolat. V 2 kole už zasedá komise (5 lidí), ti pak dají definitivní stanovisko.

Ale žádost se může podat od začátku znovu.

Žádost se podává každé 3 měsíce znovu. Rozdíl oproti řádné úhradě (ta je na 3 roky a pak se reviduje cena).

Doporučení procesu:

1. Par 16
2. Úhrada - podat paralelně

Varianta 2: Standardní cesta - novela z 48/1997 Sb a co přinese pacientům (VO)



Zásadní změny:

- **Standardizovaný vstup orphanů (možnost)** do systému cen a úhrad (bez ohledu na nákladovou efektivitu, která se zpracovává ale nehodnotí, hodnotí se celkový dopad do rozpočtu)
- **Účast pacientů (PO)** na posuzování v řízení o stanovení výše a podmínek úhrady a jeho schvalování

Další důležité úpravy (372/2011 Sb o zdrav. Službách)

- Definice patientských organizací
- Statut vysoce specializovaných center pro VO a ustanovení národní sítě
- Možnost genetického novorozeneckého laboratorního screeningu vrozených a dědičných nemocí
- Další



Jaké budou možnosti úhrad pro VO

1. 1. 2022

Zákon č 48/1997 Sb. o veřejném zdravotním pojištění

Trvalá úhrada

Výjimečná úhrada
§16

Dočasná úhrada
VILP

Úhrada léků pro
vzácná
onemocnění

Nemocniční léky

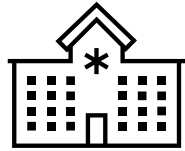
- Zcela nové ustanovení ke vstupu a úhradám léků pro vzácná onemocnění (§39da)
- Účast pacientů ve správním řízení:
 1. fáze: účastník posuzovacího/hodnotícího řízení
 2. fáze: účast v poradním orgánu MZ – rozhodování (finální doporučení úhrady)

Proč nová cesta?

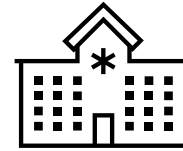
Hlavní důvody:

- **Zajistit včasný přístup ke schváleným lékům (EMA) pro pacienty v ČR**
- Většina LP pro VO (orphanů) nemohla splnit podmínky nákladové efektivity (ICER pod 1,2 mil Kč/QALY)
- Snížení počtu žádostí na §16

Proces správního řízení

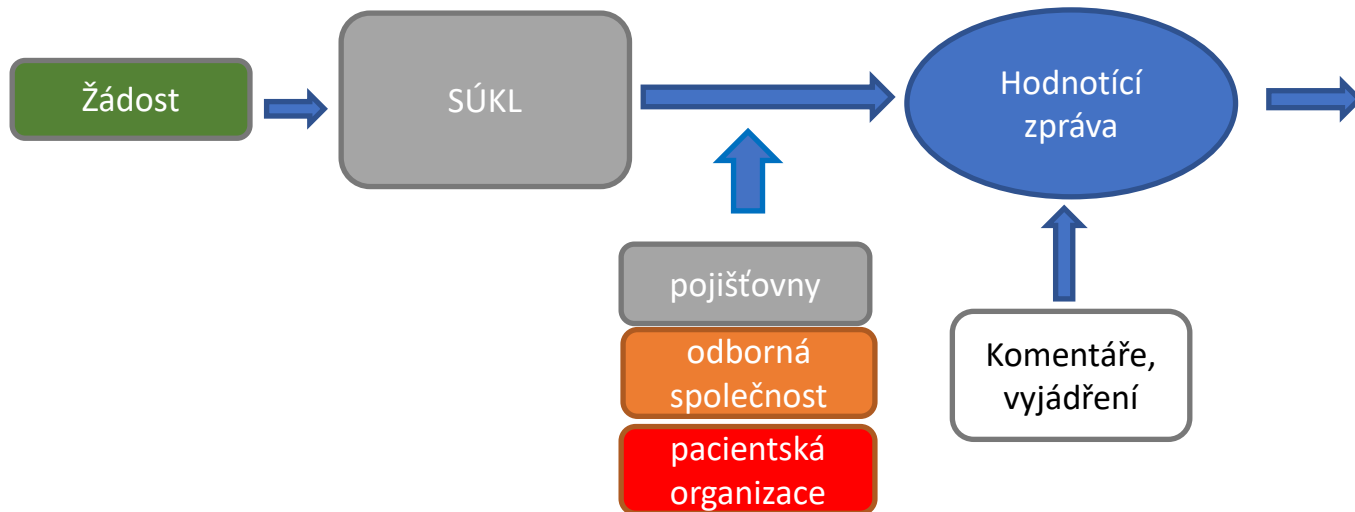


SÚKL
Státní ústav pro kontrolu léčiv

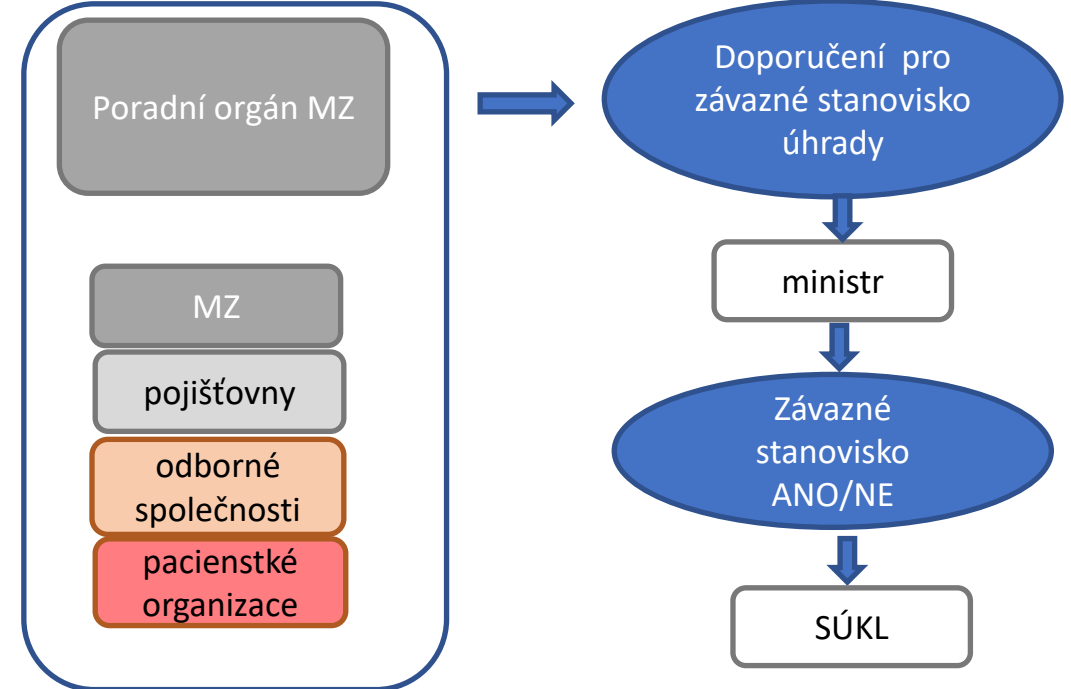


**MINISTRY OF HEALTH
OF THE CZECH REPUBLIC**

ASSESSMENT PROCESS



APPROVAL PROCESS



dny



0

30

110 + 15

30

1. fáze

2. fáze

Účast pacientů – 1. fáze

§39da, odst 3: V řízení o stanovení výše a podmínek úhrady se u léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění posuzují **(nově), pacienti nejvíce prokazují bod e)** :

- 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.



Účast pacientů – 1. fáze

KDO:

- Příslušná patientská organizace (dle definice a existující v seznamu MZ) bude vyzvána ze strany SÚKL, případně se přihlásí k SÚKL sama po podání žádosti
- Pokud není PO (ultra-vzácné onemocnění), bude zastupovat ČAVO

JAK:

- Dotazník/podání PO
- Výstupy z šetření, *dotazníky EQ-5D* kvality života, výstupy kvality života ze studií, zahraničí (výzkumy, analýzy, výstupy)

1

Podání patientské organizace
do správního řízení vedeného Státním ústavem pro kontrolu léčiv o výši a podmínkách úhrady léčivého přípravku určeného k terapii vzácného onemocnění

Účastník (patientská organizace)	
Léčivý přípravek	
Léčivá látka	
Hodnocená indikace (stručně)	
Datum vytvoření dokumentu	

Účast pacientů – 2. fáze

KDO:

- Příslušná patientská organizace (dle definice) dle jmenování ministrem zdravotnictví účastí v Poradním orgánu
- PO, která **není v konfliktu** zájmu
- PO navržená předsedou Poradního orgánu
- PO – účastní se 2 jmenování členové (celkem jsou jmenováni min 4 zástupci PO)

JAK:

- Posuzuje kritéria a parametry pro rozhodování
- Hlasuje každý účastník za sebe

Současná situace 2022

- Do současné doby podáno 5 žádostí o zahájení správního řízení. Všechny jsou v stále v běhu. Pouze u Spinrazy byla ukončena 1. fáze (vydána hodnotící zpráva) a čeká se na odeslání ze SÚKL do Poradního orgánu na MZ.
- Během prázdnin očekáváme podání min dalších 5 přípravků orphan, do konce roku celkem 15-20.

SPZN / Typ SŘ ▾	Přípravek	ATC	RS	Zahájeno ▾	Ukončeno ▾	Poslední písemnost (?) ▾	Stav řízení
SUKLS117667/2022 VaPÚ + MC - stanovení - §39da	VYNDAQEL 61MG CPS MOL 30X1	N07XX08	-	03.06.2022	-	22.06.2022 17:21	Opatřování podkladů
SUKLS88071/2022 VaPÚ - stanovení - §39da	ONIVYDE PEGYLATED LIPOSOMAL 4,3MG/ML INF CNC SOL 1X10ML	L01CE02	L01/6	28.04.2022	-	24.05.2022 17:18	Opatřování podkladů
SUKLS86076/2022 VaPÚ + MC - stanovení - §39da	TREPULMIX (4 balení)	B01AC21	-	26.04.2022	-	08.06.2022 17:53	Opatřování podkladů
SUKLS6832/2022 VaPÚ - stanovení - §39da	SPINRAZA 12MG INJ SOL 1X5ML	M09AX07	-	10.01.2022	-	17.06.2022 17:36	UKO
SUKLS1178/2022 VaPÚ - stanovení - §39da - vráceno z MZ	KYPROLIS (3 balení)	L01XG02	L01/110	03.01.2022	-	21.06.2022 17:48	Opatřování podkladů