



Praha 7. dubna 2025



MZDRX01VM5I3

Stanovisko Ministerstva zdravotnictví České republiky k výběru léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění s úhradou stanovenou podle § 39da jako srovnávané intervence (komparátora) v rámci hodnocení nákladové efektivity v řízení o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady léčivého přípravku v tzv. trvalé úhradě, vedeném podle § 39g nebo § 39i zákona č. 48/1997Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů.

Hodnocení nákladové efektivity je jakožto součást posouzení účelnosti terapeutické intervence nezbytným prvkem správního řízení o stanovení nebo změně úhrady léčivého přípravku vedeném podle § 39g nebo § 39i zákona č. 48/1997Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „zákon č. 48/1977 Sb.“ nebo „zákon o veřejném zdravotním pojištění“), a to v případech vyjmenovaných v ustanovení § 15 odst. 9 tohoto zákona. Splnění podmínky účelné terapeutické intervence je přitom jednou za základních podmínek pro stanovení úhrady léčivému přípravku pro určitou indikaci (lhostejno, zda vymezenou konkrétní podobou znění indikačního omezení, nebo souhrnem údajů o přípravku), jelikož podle § 15 odst. 6 písm. d) zákona č. 48/1997 Sb. platí, že „*Ústav nepřizná úhradu, jde-li o léčivé přípravky a potraviny pro zvláštní lékařské účely které nespĺňují podmínky účelné terapeutické intervence*“.

Podle § 15 odst. 7 věty druhé zákona č. 48/1997 Sb. pak platí, že „*Účelnou terapeutickou intervencí se rozumí zdravotní služby poskytované k prevenci nebo léčbě onemocnění za účelem dosažení co nejúčinnější a nejbezpečnější léčby při zachování nákladové efektivity*“. Dle citované věty je tedy zachování nákladové efektivity jednou z kumulativních podmínek účelné terapeutické intervence ve smyslu § 15 odst. 7 zákona č. 48/1997 Sb.

Nicméně, definice účelné terapeutické intervence pro léčivý přípravek určený k léčbě vzácného onemocnění (dále také jen „LPVO“) v rámci stanovení úhrady podle § 39da je odlišná od definice účelné terapeutické intervence pro léčivý přípravek v rámci stanovení





úhrady v tzv. trvalé úhradě, tj. s úhradou z veřejného zdravotního pojištění stanovenou v řízení vedeném podle ustanovení § 39g nebo § 39i zákona č. 48/1997Sb. Podle § 15 odst. 7 věty třetí zákona č. 48/1997 Sb. totiž platí, že *„Jde-li o léčivé přípravky určené k léčbě vzácného onemocnění podle § 39da, účelnou terapeutickou intervencí se rozumí zdravotní služby poskytované k prevenci nebo léčbě vzácného onemocnění za účelem dosažení co nejúčinnější a nejbezpečnější léčby, pokud farmakoterapeutické ovlivnění tohoto onemocnění má celospolečenský význam a finanční dopad do systému zdravotního pojištění (dále jen „dopad do rozpočtu“) je v souladu s veřejným zájmem podle § 17 odst. 2.“*

Odlisný způsob nazírání na splnění požadavku účelné terapeutické intervence v řízení o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady LPVO podle § 39da oproti léčivým přípravkům v tzv. trvalé úhradě je pak také vyjádřen v § 39da odst. 3 písm. i) zákona č. 48/1997 Sb., podle něhož platí, že *„V řízení o stanovení výše a podmínek úhrady se u léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění posuzují..., i) analýza nákladové efektivity, avšak bez zohlednění jejího výsledku v podobě poměru inkrementálních nákladů a přínosů, a...“*

Léčivý přípravek určený k léčbě vzácného onemocnění, kterému byla stanovena úhrada postupem dle § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění, tedy vůbec nemusel naplnit podmínku účelné terapeutické intervence ve smyslu požadavků kladených zákonem na léčivé přípravky v tzv. trvalé úhradě. LPVO hrazený postupem dle § 39da nemusí naplňovat podmínku zachování nákladové efektivity, a tím pádem ani nemusí být účelnou terapeutickou intervencí ve smyslu § 15 odst. 7 věty druhé zákona (je účelnou terapeutickou intervencí ve smyslu § 15 odst. 7 věty třetí zákona). Předpokládaná neschopnost LPVO prokázat svou nákladovou efektivitu tak, jak je vyžadováno v řízení dle § 39g, je ostatně i jeden z důvodů, proč LPVO mají prostřednictvím § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění stanoven odlisný postup pro stanovení výše a podmínek úhrady z veřejného zdravotního pojištění.

Z výše uvedených důvodů nelze při prokazování účelné terapeutické intervence léčivého přípravku, který vstupuje do tzv. trvalé úhrady postupem dle § 39g, případně u změny výše a podmínek úhrady dle § 39i zákona, vycházet z prokázané účelné terapeutické intervence LPVO, který do systému úhrad vstoupil postupem dle § 39da zákona. Jde o dva různé typy účelné terapeutické intervence, které vyžadující prokázání odlišných okolností a uplatní se v jiných typech řízení, a proto mezi nimi není možné učinit rovnítko a předpokládat, že pokud LPVO s úhradou stanovenou podle § 39da splňuje podmínku účelné terapeutické intervence podle § 15 odst. 7 věty třetí zákona, pak splňuje i podmínku účelné terapeutické intervence podle § 15 odst. 7 věty druhé zákona.





Využití LPVO s úhradou stanovenou podle § 39da jako komparátoru v řízení o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady léčivého přípravku v tzv. trvalé úhradě v základním scénáři by vedlo k metodologickým nesrovnalostem v hodnocení nákladové efektivity předkládaném žadatelem a následně k nerovnostem v posuzování nákladové efektivity hodnocené intervence ze strany Ústavu oproti jiným léčivým přípravkům v tzv. trvalé úhradě.

Z výše uvedeného je zřejmé, že nelze mít za to, že hodnocená intervence v řízení o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady v tzv. trvalé úhradě naplňuje podmínku účelné terapeutické intervence, pokud je v základním scénáři analýzy nákladové efektivity využit jako srovnávaná intervence (komparátor) léčivý přípravek určený k léčbě vzácného onemocnění s úhradou stanovenou podle § 39da.

Ministerstvo je na základě výše uvedeného přesvědčeno, že využití léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění s úhradou stanovenou podle § 39da jako srovnávané intervence (komparátora) v základním scénáři v rámci hodnocení nákladové efektivity v řízení o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady léčivého přípravku v tzv. trvalé úhradě nijak nemůže prokazovat, že tato hodnocená intervence naplňuje podmínku účelné terapeutické intervence ve smyslu věty druhé § 15 odst. 7 zákona č. 48/1997 Sb. Nepochybně účelné terapeutické intervence podle věty druhé § 15 odst. 7 zákona č. 48/1997 Sb. v rámci řízení o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady v tzv. trvalé úhradě je pak zákonným důvodem pro nepřiznání úhrady léčivému přípravku ve smyslu § 15 odst. 6 písm. d) téhož zákona.

