

Stanovisko k využití LPVO jako komparátorů v řízeních o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady

28.8.2025 - | Státní ústav pro kontrolu léčiv

Za léčivé přípravky pro vzácná onemocnění (LPVO) se považují přípravky, které byly takto stanoveny podle nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000, a které vstoupily do úhrad postupem dle ustanovení § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění (rovněž jako ZoVZP).

Léčivé přípravky bez orphan designace, i když jsou určeny k léčbě vzácných onemocnění, nemohou využít postup stanovení úhrady podle ustanovení § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění a nejsou proto označovány za LPVO.

V řízeních o stanovení nebo změně výše a podmínek úhrady podle ustanovení § 39g nebo § 39i zákona o veřejném zdravotním pojištění (dále jako trvalá úhrada) musí být **komparativní klinická účinnost a bezpečnost** prokázána oproti všem relevantním komparátorům, tedy jak proti těm, kterým byla stanovena trvalá úhrada, tak těm, kterým byla stanovena úhrada dle ustanovení § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění. LPVO s úhradou podle ustanovení § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění ale nelze použít jako komparátor v základním scénáři analýzy nákladové efektivity v řízeních o trvalé úhradě. Důvodem je odlišná definice účelné terapeutické intervence pro LPVO (viz věta třetí ustanovení § 15 odst. 7 zákona o veřejném zdravotním pojištění) oproti přípravkům v trvalé úhradě (viz věta druhá ustanovení § 15 odst. 7 zákona o veřejném zdravotním pojištění). LPVO nemusí splňovat podmínku nákladové efektivity, což je však klíčová podmínka pro stanovení trvalé úhrady. Použití LPVO jako komparátoru by tak vedlo k metodologickým nesrovnalostem v hodnocení nákladové efektivity a následně k nerovnostem v posuzování nákladové efektivity hodnocené intervence ze strany Ústavu oproti jiným léčivým přípravkům v trvalé úhradě.

Pro přípravky bez orphan designace, které jsou určeny k léčbě vzácných onemocnění, je doporučeno žádat o dočasnou úhradu vysoce inovativního léčivého přípravku (VILP) podle ustanovení § 39d zákona o veřejném zdravotním pojištění. V souladu s ustanovením § 39d odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění se pro stanovení dočasné úhrady nevyžaduje splnění podmínky nákladové efektivity jako jedné z podmínek účelné terapeutické intervence podle ustanovení § 15 odst. 7 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Pro přiznání statutu VILP **musí léčivý přípravek splňovat podmínky dle ustanovení § 39d odst. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění, tzn. léčivý přípravek musí být určený pro léčbu vysoce závažného onemocnění a zároveň musí být prokázáno splnění alespoň jednoho kritéria dle ustanovení § 39d odst. 2 písm. a) nebo b) zákona o veřejném zdravotním pojištění**, a to oproti terapii léčivými přípravky se stanovenou trvalou úhradou, případně oproti jiné alternativě léčby, například placebo/BSC. Pokud je relevantním komparátorem rovněž LPVO hrazený v předmětné indikaci podle ustanovení § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění, musí být zároveň splněna podmínka **alespoň srovnatelné účinnosti oproti LPVO**.

V základním scénáři analýzy nákladové efektivity nelze LPVO použít jako komparátor, ale je nutné jej přeložit jako komparátor v alternativním scénáři (např. jako zdroj pro odvození nákladů vstupujících do analýzy dopadu na rozpočet). V analýze dopadu na rozpočet je však LPVO nutné zohlednit v

základním scénáři v takovém zastoupení, aby nastavení analýzy odpovídalo reálné klinické praxi. Farmakoeconomické hodnocení musí být metodologicky správně provedeno a přezkoumatelné. Dopad do rozpočtu musí být v souladu s veřejným zájmem podle ustanovení § 17 odst. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

<https://sukl.gov.cz/ceny-a-uhrady-leciv/aktuality-pro-ucastniky/stanovisko-k-vyuziti-lpvo-jako-komparatoru-v-rizenich-o-stanoveni-nebo-zmene-vyse-a-podminek-uhrady>