Léčba vzácných onemocnění

10.3.2026 - David Kolář | Asociace inovativního farmaceutického průmyslu

Vážené kolegyně, vážení kolegové, nedávno jsme si připomněli Den vzácných onemocnění. Je to příležitost podívat se, kam se posunul výzkum a jaké podmínky dnes pacienti se vzácnými diagnózami mají.

Vzácná onemocnění jsou jednotlivě málo častá, v součtu však představují významnou zdravotní výzvu. V Českérepublice se týkají přibližně půl milionu lidí, celosvětově zhruba 300 milionů. Popsáno je více než 6 000 diagnóz a pro většinu z nich stále neexistuje cílená léčba. Podle dat EFPIA na ni čeká 95 % pacientů.

Česká republika má od roku 2022 systém pro vstup léčiv na vzácná onemocnění, který nastavil jasnější pravidla úhrady. Pacienti už nejsou odkázáni pouze na individuální žádosti a do rozhodování vstupují i pacientské organizace a odborníci. Od té doby byla úhrada schválena 29 přípravkům, osm žádostí bylo zamítnuto a dalších 16 řízení probíhá.

Z pohledu průmyslu si tzv. „orphanové cesty" velmi vážíme a vnímáme, že Česká republika, je v tomto ohledu výrazně progresivnější než většina evropských států. I přesto jsme zejména v druhé polovině minulého roku viděli, že počet neschválených žádostí o úhradu přípravků pro vzácná onemocnění vzrostl a odůvodnění nebylo úplně srozumitelné a konzistentní. Zároveň se setkáváme s případy, kdy některé přípravky, které jsou určené k léčbě vzácných onemocnění se do systému z formálních důvodů nemohou dostat.

Věřím, že bude prostor s kolegy z Ministerstva zdravotnictví ČR, zdravotních pojišťoven, Státníhoústavu pro kontrolu léčiv a České asociace provzácná onemocnění některé parametry diskutovat a v případě shody upravit tak, aby orphanové léky stabilně vstupovaly do ČR i nadále.

Důležité bude sledovat i vývoj na evropské úrovni. Revize obecné farmaceutické legislativy totiž upravuje pravidla pro délku tržní exkluzivity. Ačkoli finální podoba schválená na konci loňského roku nepřinesla zásadní obrat, samotná debata o změnách a opakované návrhy na úpravy podmínek vnášejí do prostředí inovativního výzkumu nejistotu.

Je pozitivní, že se daří registrovat nová léčiva, podstatné ale je, zda si Evropa tento trend udrží i do budoucna a zůstane místem, kde se vyplatí investovat do výzkumu vzácných onemocnění. Pro půl milionu lidí v České republice a 300 milionů pacientů na světě je to otázka konkrétní šance na léčbu.

V úctě

David Kolář

https://aifp.cz/cs/lecba-vzacnych-onemocneni