SÚKL

Státní ústav pro kontrolu léčiv

Mgr. **Filip Vrubel**
CERGE, Praha,27.2.2013
© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

Mgr. **Filip Vrubel**
náměstek ředitele

© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

- **V zákoně č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění, tato kategorie uvedena není**
- **OD jsou většinou posuzovány jako VILP**
- **VILP – může získat až na 36 měsíců dočasnou úhradu**
- **Může mít méně referencí pro stanovení ceny nebo úhrady (stačí úhrada v 2 zemích RK)**
- **Úhrada za sílu může být stanovena podle cenové reference jednotlivých sil**

© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

- **Stanovení ceny – pouze pro nemocniční užití**
- **Stanovení ceny a úhrady – pro ambulantní péči**
- **Vždy s podmínkami úhrady „S“ + „P“**
- **Při dočasné úhradě shromažďování dat o účinnosti v podmínkách klinické praxe v ČR, hodnocení dopadu do rozpočtu**
- **Při přechodu do trvalé úhrady hodnocení nákladové efektivity léčby**

Mgr. **Filip Vrubel**
CERGE, Praha,27.2.2013
© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

- **Může jít o léčbu nákladnou, často doživotní**
- **Nejedná se o léčbu kurativní**
- **Léčba pacientů se vzácným onemocněním je etickou i ekonomickou výzvou**
- **Hranice ochoty platit by neměla být shodná jako pro „běžná“ onemocnění**
- **Rozhodnutí o účinnosti je často na základě malých studií, někdy i fáze II (chybí kontrolní rameno), proto je důležité koncentrovat léčbu a hodnotit výsledky léčby v podmínkách ČR a to i v horizontu delším než je 36 měsíců**

Mgr. **Filip Vrubel**
CERGE, Praha,27.2.2013
© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

- **Pacienti se vzácným onemocněním mohou být plně soběstačtní a „vrátit“ společnosti vklad do jejich léčby (např. metabolická tzv. střádavá onemocnění)**
- **Vzácných onemocnění jsou tisíce, známe jich stovky, léčíme desítky**
- **Registrováno celkem 72 OD**
- **Převážnou část OD tvoří léky na metabolická a nádorová onemocnění**
- **Statut OD lze i ztratit (př. LP Glivec, v roce 2012 zaregistrováno generikum)**
- **V roce 2012 zaregistrováno 10 nových OD**

Mgr. **Filip Vrubel**
CERGE, Praha,27.2.2013
© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

- **Některé OD hrazeny pouze se souhlasem revizního lékaře**
- **1 OD se používá pouze v nemocniční péči (Busilvex - busulfan)**
- **38 OD má stanovenou úhradu pro ambulantní použití (celkem 56 kódů SUKL), u dalších 5 běží nová řízení**
- **13 kódů má dočasnou úhradu, 40 kódů má trvalou úhradu, 3 kódy mají úhradu předběžně vykonatelnou**
- **OD může mít trvalou úhradu pro jednu indikaci a dočasnou pro další (př. Nexavar - sorafenib)**
- **OD může mít 2 dočasné úhrady pro různé indikace (př. Afinitor - everolimus)**

© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

NAZEV	ATC	typ úhrady	NAZEV	ATC	typ úhrady	NAZEV	ATC	typ úhrady
AFINITOR	L01XE10	dočasná úhrada	**LITAK**	L01BB04	trvalá úhrada	**SOMAVERT**	L01XE08	trvalá úhrada
ALDURAZYME	A16AB05	trvalá úhrada	**LYSODREN**	L01XX23	trvalá úhrada	**THROMBOREDUCTIN**	L01XX35	trvalá úhrada
DUODOPA	N04BA02	trvalá úhrada	**MOZOBIL**	L03AX16	dočasná úhrada	**TOBI PODHALER**	J01GB01	trvalá úhrada
ELAPRASE	A16AB09	trvalá úhrada	**MYOZYME**	A16AB07	trvalá úhrada	**TORISEL**	L01XE09	trvalá úhrada
EVOLTRA	L01BB06	dočasná úhrada	**NEXAVAR**	L01XE05	předběžně vykon.	**TRACLEER**	C02KX01	kategorizační v.
EXJADE	V03AC03	trvalá úhrada	**NPLATE**	B02BX04	dočasná úhrada	**TRISENOX**	L01XX27	trvalá úhrada
FABRAZYME	A16AB04	trvalá úhrada	**ORFADIN**	A16AX04	trvalá úhrada	**VENTAVIS**	B01AC11	trvalá úhrada
FIRAZYR	B06AC02	dočasná úhrada	**REPLAGAL**	A16AB03	trvalá úhrada	**VIDAZA**	L01BC07	dočasná úhrada
GLIVEC	L01XE01	trvalá úhrada	**REVATIO**	G04BE03	trvalá úhrada	**VOLIBRIS**	C02KX02	trvalá úhrada
ILARIS	L04AC08	dočasná úhrada	**REVLIMID**	L04AX04	trvalá úhrada	**VPRIV**	A16AB10	trvalá úhrada
INCRELEX	H01AC03	trvalá úhrada	**REVOLADE**	B02BX05	trvalá úhrada	**YONDELIS**	L01CX01	předběžně vykon.
INOVELON	N03AF03	trvalá úhrada	**SOMAVERT**	H01AX01	trvalá úhrada	**ZAVESCA**	A16AX06	trvalá úhrada
KUVAN	A16AX07	dočasná úhrada	**TASIGNA**	L01XE08	trvalá úhrada			

Běží řízení o stanovení úhrady u dalších 5 orphan drugs:

Arzerra, Diacomit, Esbriet, Mepact, Votubia

SÚKL

Mgr. **Filip Vrubel**
CERGE, Praha,27.2.2013
© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Orphan drugs

- **Budoucnost cesty k úhradě z veřejného zdravotního pojištění → HTA**
- **HTA pro orphan drugs procesně stejné, ale se sníženými požadavky na prokázání např. nákladové efektivity**
- **WTP pro orphan drugs vyšší než pro běžná léčiva, ale musí být stanovena (byť implicitně)**

Mgr. **Filip Vrubel**
CERGE, Praha,27.2.2013
© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**

Děkujeme za pozornost

Mgr. **Filip Vrubel**
CERGE, Praha,27.2.2013
© 2013 **Státní ústav kontrolu léčiv**