



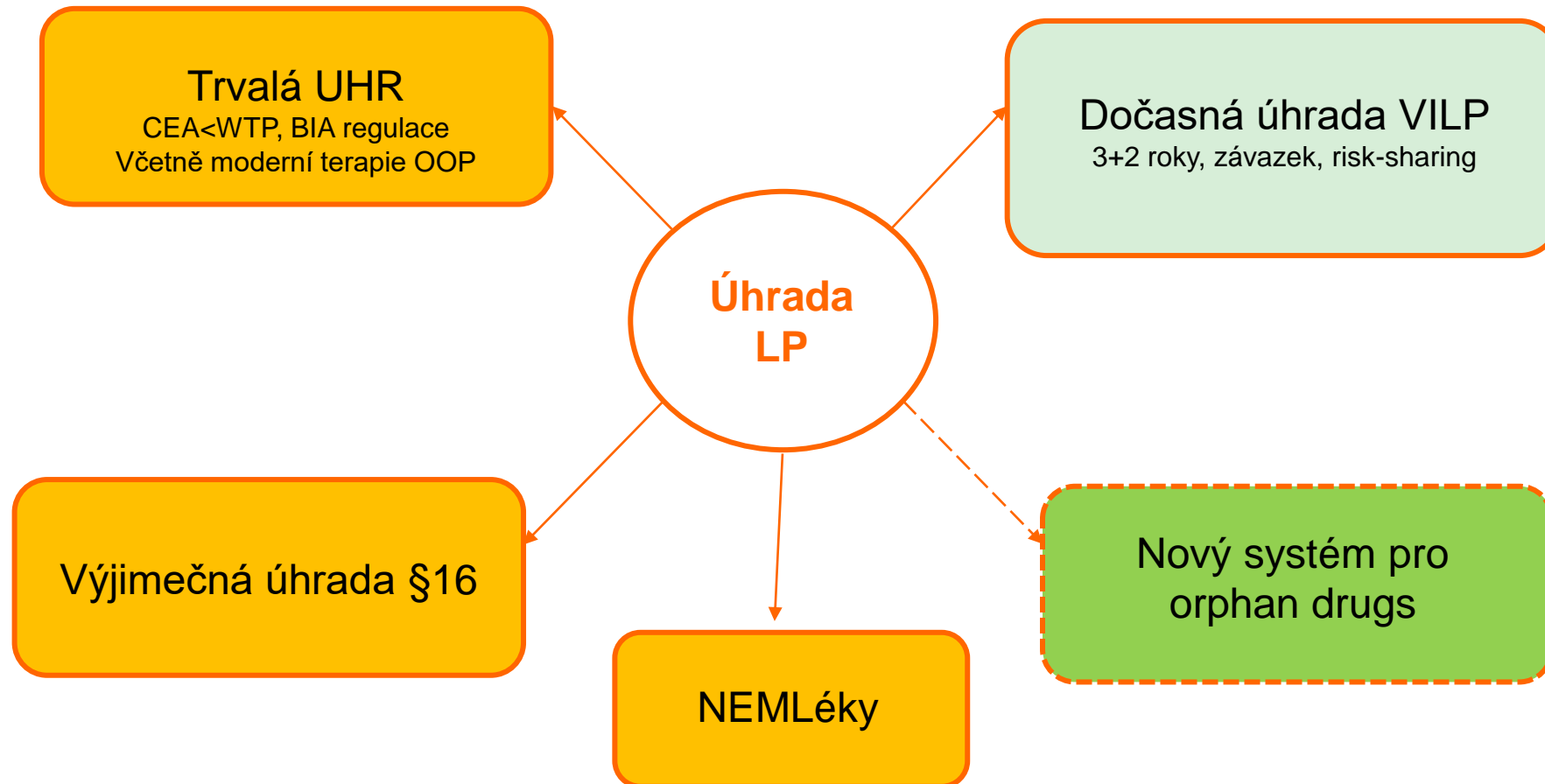
**Value
Outcomes**

Novela zákona o veřejném zdravotním pojištění s dopadem na proces stanovení úhrady léčiv na vzácná onemocnění

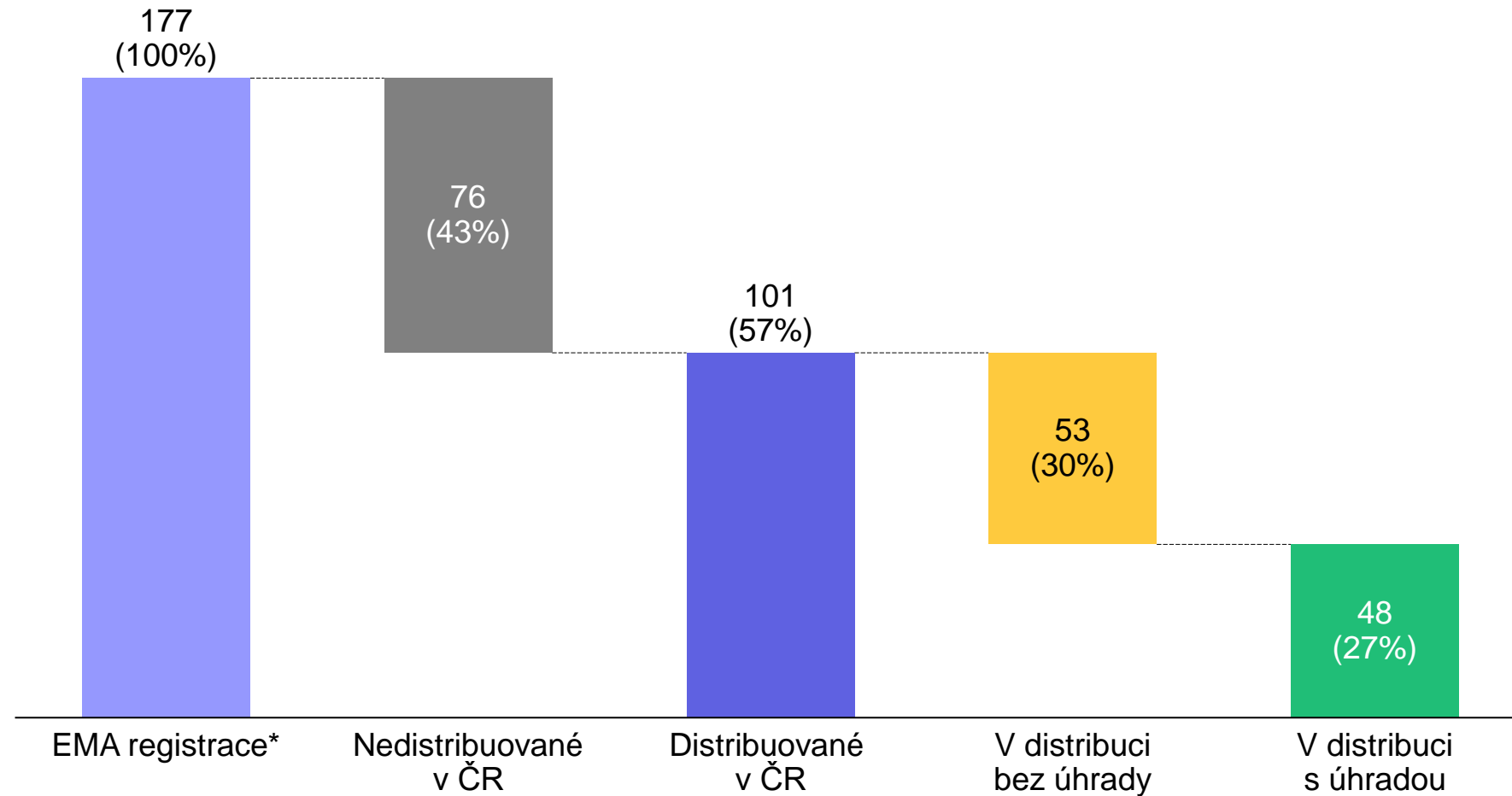
Tomáš Doležal

1.12.2021

Mechanismy úhrad LP



Z léčivých přípravků, které měly aktivní status orphan mezi lety 2015-2020 se na českém trhu vyskytlo 57 % z těchto přípravků, ale jen 29 % z nich mělo přidělenou úhradu



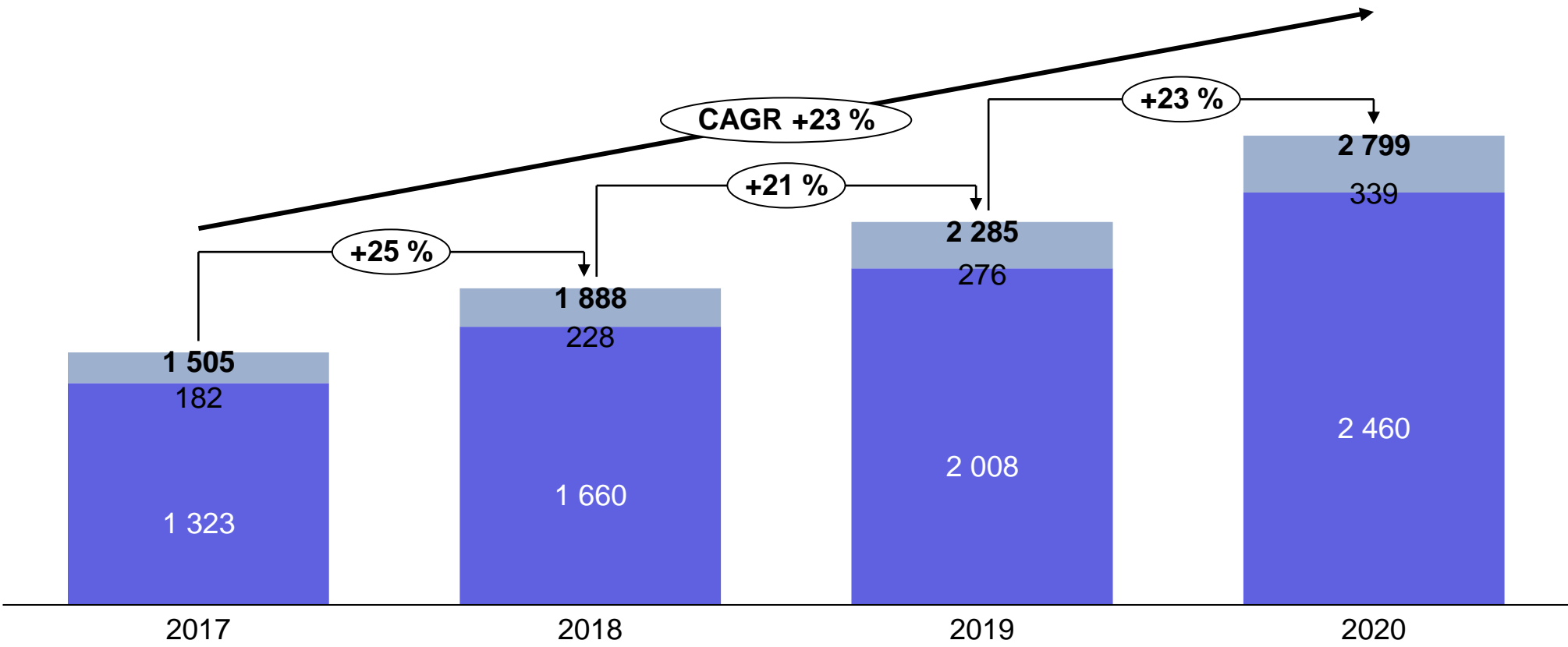
*s výjimkou těch LP, kterým vypršel status orphan před rokem 2015

Zdroj: SÚKL DIS-13 a SCAU, COGVIO



V roce 2020 bylo dle dat pojišťoven vynaloženo 2,8 mld. Kč na úhrady léčivých přípravků hrazených skrze § 16

Úhrady pojišťoven v mil. Kč



Poznámka: Celkové úhrady pro poslední kvartál roku 2020 byly získány odhadem

Zdroj: VZP; ZPMV; OZP; CPZP; Analýza COGVIO

§ 39da

Zásady pro úhradu léčivých přípravků určených k léčbě vzácných onemocnění

- (1) Je-li to *ve veřejném zájmu* podle § 17 odst. 2 a není-li podána pro stejnou indikaci žádost o stanovení dočasné úhrady podle § 39d ani žádost o stanovení výše a podmínek úhrady v řízení podle § 39g, **Ustav rozhodne o výši a podmínkách úhrady léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění.** Za léčivý přípravek určený k léčbě vzácného onemocnění se považuje léčivý přípravek, který byl **stanoven jako takový** podle přímo použitelného **předpisu Evropské unie o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění.** Rízení lze samostatně vést také ohledně léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění, u kterého je pro jinou indikaci vedeno současně řízení o stanovení, změně nebo zrušení maximální ceny nebo výše a podmínek úhrady, nebo hloubková nebo zkrácená revize.

Podává MAH nebo ZP

- Na náležitosti žádosti podané držitelem rozhodnutí o registraci se použijí ustanovení § 39f odst. 1, 5 a 6. Na náležitosti žádosti podané zdravotní pojišťovnou se použijí ustanovení § 39f odst. 1 a 5

Účastníkem řízení je také příslušná odborná společnost, sdružující odborníky zabývající se léčbou onemocnění, které může být posuzovaným přípravkem ovlivněno, a patientská organizace podle zákona o zdravotních službách sdružující pacienty s onemocněním, jejichž léčba může být posuzovaným přípravkem ovlivněna, (dále jen „příslušná patientská organizace“).



Třetí cesta/orphan legislativa - principy

- Přináší odlišný rámec pro rozhodování u orphanů
- **§ 39b** Zásady stanovení nebo změn výše a podmínek úhrady léčivých přípravků
- **Kriteria hodnocení**
 - **terapeutická účinnost a bezpečnost**
 - **závažnost onemocnění**
 - **nákladová efektivita – náklady a přínosy na jednoho pojištěnce a celkové náklady na zdravotní péči hrazenou ze zdravotního pojištění**
 - **veřejný zájem**
 - *vhodnost cesty podání, formy, síly*
 - *obvyklé dávkování*
 - *nezbytná délka léčby*
 - *míra součinnosti osoby, které je podáván*
 - **jeho nahraditelnost jiným léčivem**
 - **předpokládaný dopad úhrady na finanční prostředky zdravotního pojištění**
 - **doporučené postupy odborných institucí a odborníků, a to vždy z hlediska nákladové efektivity a s ohledem na dopad na finanční prostředky**
- **§ 39da** Zásady pro úhradu léčivých přípravků k léčbě vzácných onemocnění
- **Kriteria hodnocení**
 - **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.**

§ 39da odst. 4 – správní řízení

- Účastníci řízení jsou oprávněni *navrhovat důkazy a činit jiné návrhy ve lhůtě 30 dnů* ode dne zahájení řízení. **Ústav do 110 dnů** ode dne zahájení řízení **vydá hodnotící zprávu**, ve které shrne zejména dostupné poznatky o účinnosti a bezpečnosti léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění, o onemocnění, k jehož léčbě je určen, o dosavadním způsobu léčby daného onemocnění, a o dopadech léčby léčivým přípravkem určeným k léčbě vzácného onemocnění na kvalitu života pacienta a systémy zdravotního pojištění a sociálního zabezpečení.
- Za tím účelem je **Ústav oprávněn vyžádat si potřebné informace** od Ústavu zdravotnických informací a statistiky České republiky (dále jen „Ústav zdravotnických informací“), Českého statistického úřadu, zdravotních pojišťoven, příslušných orgánů sociálního zabezpečení, příslušných odborných institucí, příslušných odborných společností a příslušných patientských organizací. V hodnotící zprávě zároveň uvede návrh výše maximální ceny vypočtené podle § 39a, návrh výše úhrady vypočtené podle § 39c a upravené podle § 39b a návrh podmínek úhrady.

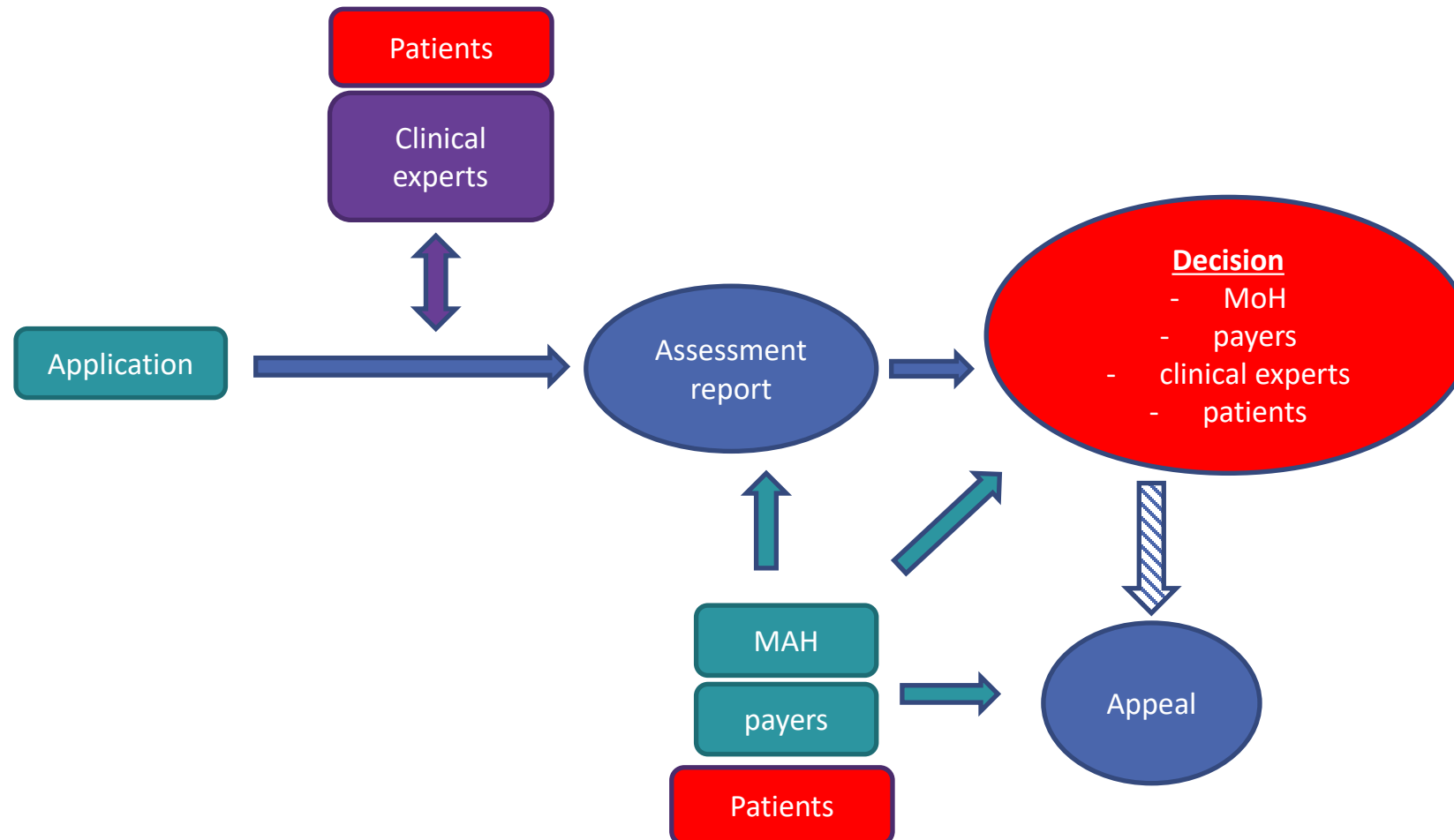
§ 39da odst. 5 – správní řízení

- Účastníci řízení mají právo **vyjádřit se k hodnotící zprávě ve lhůtě 15 dnů** ode dne jejího doručení. V řízení lze žádat o změnu obsahu žádosti podle § 41 odst. 8 správního řádu jen do uplynutí lhůty pro vyjádření k hodnotící zprávě.
- **Ústav může** na základě vyjádření účastníků řízení **hodnotící zprávu upravit a poté ji spolu se souhrnem vyjádření účastníků řízení postoupí Ministerstvu zdravotnictví k vydání závazného stanoviska** podle § 149 správního řádu. Ministerstvo zdravotnictví za účelem vytvoření odůvodněného podkladu pro závazné stanovisko a posouzení veřejného zájmu podle § 17 odst. 2 na stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění **před vydáním závazného stanoviska zřídí poradní orgán pro úhradu léčiv určených k léčbě vzácných onemocnění** (dále jen „poradní orgán“), který posoudí žádost, hodnotící zprávu a kritéria stanovená v odstavci 3.
- **Členy** poradního orgánu **jmenuje a odvolává ministr zdravotnictví** na návrh Ministerstva zdravotnictví, zdravotních pojišťoven, odborných lékařských společností a **pacientských organizací podle zákona o veřejných službách** tak, aby jejich zastoupení bylo stejné. **Funkční období člena poradního orgánu je tříleté.** Funkci člena poradního orgánu je možno vykonávat opakovaně. Člen poradního orgánu se nemůže zúčastnit jednání o stanovení, změně nebo zrušení úhrady léčivého přípravku určeného pro léčbu vzácného onemocnění, pokud by mohlo dojít ke střetu se zájmy osobními nebo profesními nebo ke zneužití informací nabytých v souvislosti s výkonem funkce člena poradního orgánu ve prospěch vlastní nebo někoho jiného.

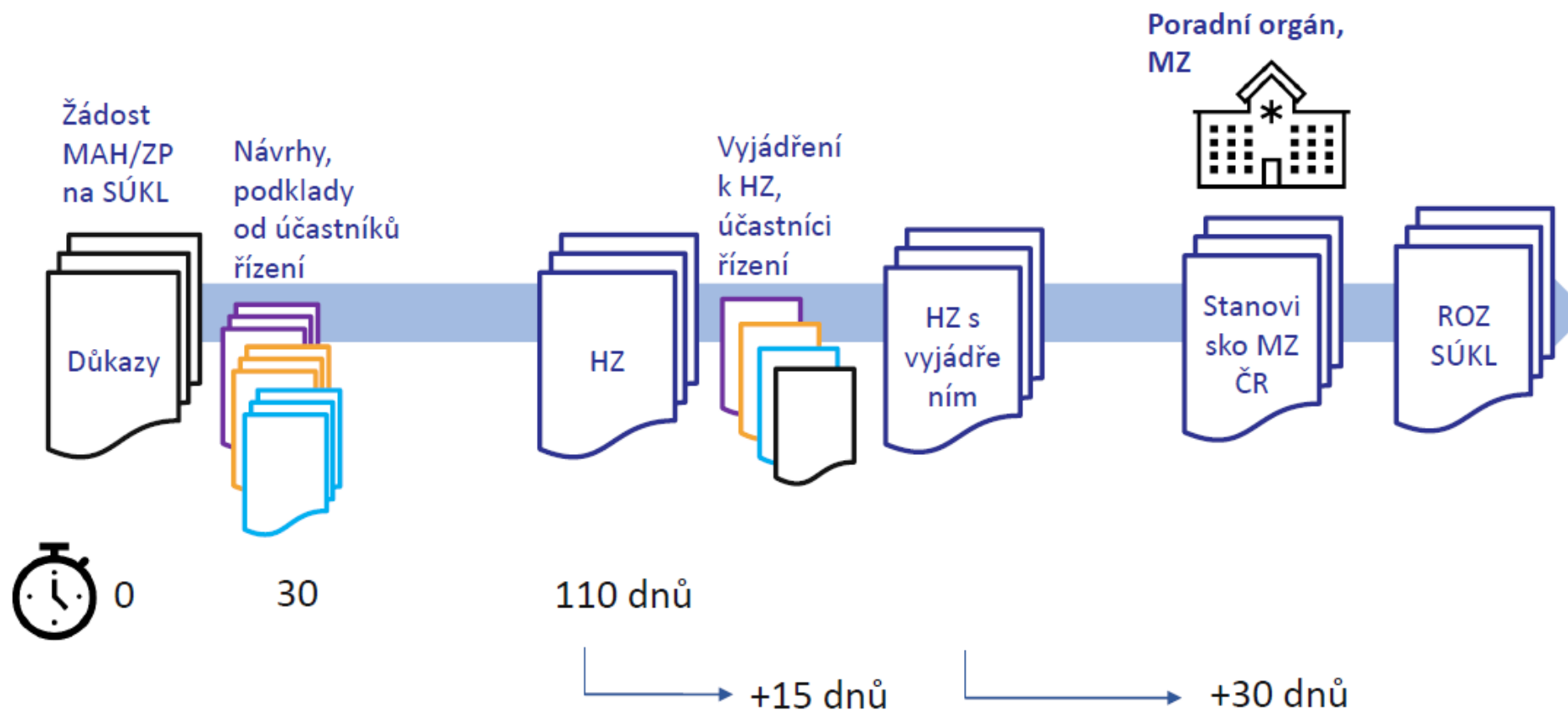
§ 39da odst. 6 – projednávání

- K projednání žádosti nařídí Ministerstvo zdravotnictví **ústní jednání**. Oznámení o konání ústního jednání se doručuje podle § 39o. **Předmětem ústního jednání je diskuze o hodnotící zprávě a souhrnu vyjádření účastníků řízení postoupené Ústavem** podle odstavce 5 a naplnění kritérií uvedených v odstavci 3 včetně různých variant a okolností, které mohou mít vliv na nákladovou efektivitu nebo dopad do rozpočtu. K novým skutečnostem a k návrhům na provedení nových důkazů se nepřihlíží. Informace, které jsou předmětem obchodního tajemství podle § 39f odst. 12, se projednávají pouze za účasti členů poradního orgánu a osob, které podle § 39f odst. 12 mají právo být s těmito informacemi seznámeni. **Na základě projednání věci před poradním orgánem vydá Ministerstvo zdravotnictví závazné stanovisko do 30 dnů ode dne postoupení žádosti spolu s hodnotící zprávou a postoupí věc zpět Ústavu.** Závazným stanoviskem Ministerstvo zdravotnictví
 - a) **vysloví souhlas** se stanovením úhrady z prostředků zdravotního pojištění **ve výši a za podmínek** navržených v hodnotící zprávě,
 - b) **stanoví úhradu** z prostředků zdravotního pojištění **v jiné výši nebo za jiných podmínek**, než jsou uvedeny v hodnotící zprávě, které uvede, nebo
 - c) **vysloví nesouhlas** se stanovením úhrady z prostředků zdravotního pojištění.

NEW PROCESS FOR ORPHANS



Správní řízení pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění



Nové strukturované podání

- Část F **Specifická kritéria dle ustanovení § 39da**

- **F-1: Celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění**

- Tato část by měla přinést popis onemocnění a epidemiologie vč. předpokládaného počtu pacientů, popis závažnosti vzácného onemocnění (naplnění definice analogicky dle § 39d zákona a odůvodnění), popis nenaplněné medicínské potřeby, vlivu onemocnění na kvalitu života pacienta (příp. pečovatelů) včetně ovlivnění schopnosti práce a produktivity

- **F- 2: Dopady léčby na systém zdravotního pojištění a sociálního zabezpečení**

- Uvedte přehled dopadů léčby na systém zdravotního a sociálního zabezpečení s využitím dostupných zdrojů nebo odkazů na ně (např. podání odborníků či podání patientských organizací), jiné podklady o nákladech systému sociálního zabezpečení v ČR spojených s konkrétním onemocněním), včetně možných výsledků dotazníkových šetření

- **F-3: Prokazatelný přínos na zlepšení kvality života pacienta**

- Podklady o vlivu LPVO na kvalitu života zejména tzv. „patient-reported outcomes“, např. dotazníky disability či kvality života používané v klinických studiích či v patientských registrech.

- **F-4: Reálné možnosti pro zajištění poskytování úspěšné a efektivní léčby v síti poskytovatelů zdravotních služeb**

Aktuální a chystaná síť pracovišť a jejich kapacity. Je možno se vyjádřit k hierarchizace péče a její aktuální a budoucí dostupnosti (po vstupu přípravku). Uvedte vyžádanou a jinou (diagnostickou, komplement, ...) péči, kterou používání resp. aplikace přípravku ovlivní či přímo bude nově vyžadovat.

- Perspektiva analýz

- **Část G: Perspektiva analýzy**

Uvedte, zda byla zvolena perspektiva zdravotních pojišťoven. V případě žádosti dle § 39da jsou dalšími relevantními perspektivami vládní a celospolečenská.

Definice dalších perspektiv vychází z platných doporučených postupů ČFES.

Vyjádření účastníků SŘ

- Návod i formulář budou specifické pro každý okruh žadatelů / účastníků z důvodu přehlednosti a snížení zátěže při přípravě podání:
- Doplnění stávajícího pokynu CAU-08 o nové kapitoly pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění
 - držitelé rozhodnutí o registraci
- Nové formuláře obsahující pouze relevantní části

Vyjádření zdravotní pojišťovny

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

Účastník (zdravotní pojišťovna/ý)	
Léčivý přípravek	
Léčivá látka	
Hodnocená indikace (stručně)	
Datum vytvoření dokumentu	

Vyjádření pacientské organizace

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

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

Vyjádření odborné společnosti

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

Účastník (odborná společnost)	
Léčivý přípravek	
Léčivá látka	
Hodnocená indikace (stručně)	
Datum vytvoření dokumentu	

Strukturovaný sběr dat ze strany pacientů



Vzor podání patientské skupiny pro HTA léčivých přípravků

Formulář pro hodnocení léků pro vzácná onemocnění příslušnými patientskými organizacemi a dalšími zainteresovanými subjekty (např. pacienti, jejich rodinami, pečovateli atd.) dle požadavků § 39da Zákona č. 48/1997 Sb.



Value Outcomes

- Dopad na zdravotní stav
- Zkušenosti se současnými terapiemi
- Zkušenosti s hodnoceným novým lékem
- Další informace

4. Dopad na zdravotní stav

Jak stav nebo nemoc, pro které je léčivý přípravek hodnocen, ovlivňují kvalitu života pacientů a jejich sociální status?

Otázky, které je třeba vzít ve vaší odpovědi v úvahu

- *Aspekty zdravotního stavu, které jsou nejzávažnější (například symptomy, ztráta pracovní schopnosti, ztráta odvahy vyjít ven, neschopnost řídit, sociální vyloučení).*
- *Činnosti, které pacienti považují za obtížné nebo které nemohou vykonávat.*
- *Nejdůležitější aspekty zdravotního stavu, kterým je třeba věnovat pozornost (například symptomy, které omezují společenskou interakci nebo schopnost pracovat, jako jsou potíže s dýcháním, bolest, únava, inkontinence, úzkost).*
- *Podpora, která je potřeba pro každodenní život (fyzická nebo emocionální).*
- *Typy pacientů, které jsou zdravotním stavem nejvíce postiženy (například muži/ženy, děti, etnické skupiny).*
- *Výzvy při zvládnutí tohoto zdravotního stavu, pokud pacienti trpí i jinými onemocněními.*
- *Co pacienti od nové léčby nejvíce očekávají (například zastavení progresu onemocnění, zlepšení konkrétního symptomu).*
- *Ekonomické a sociální důsledky nemoci pro pacienta (nemožnost či omezení pracovat / vzdělávat se, finanční podpora nutná pro zvládnutí nemoci – poskytovaná státními orgány a institucemi, nevládními organizacemi, pomocí veřejných sbírek, rodiny)*

Průběh jednání/rozpravy

- Je nutné zaznamenat preference jednotlivých stran pro jednotlivá kritéria
- Slovně nebo numericky



**Value
Outcomes**

	Pacienti	Odborníci	ZP	MZ	Výsledek	Komentáře
Účinnost/bezpečnost						
Závažnost onemocnění						
Nahraditelnost						
Celospolečenský význam						
Přínos na kvalitu života						
Možnosti zajištění léčby v síti poskytovatelů						
Doporučené postupy						
Podmínky úhrady a smlouvy						
Analýza nákladové efektivity						
Analýza dopadu na rozpočet						

Dostupnost dokumentů/zdůvodnění



- **Podklady pro jednání poradního orgánu**
- Hodnotící zpráva SÚKL
- Souhrn vyjádření účastníků řízení k hodnotící zprávě
 - včetně pacientů
 - včetně odborných společností
- Případné informace o smluvních ujednáních mezi pojišťovnami a MAHem
- **Dokumenty ke zveřejnění**
- Doporučení PO k závaznému stanovisku MZ
- Souhrnné zdůvodnění k jednotlivým bodům (dle osnovy §39da(3))
- Souhrn diskuse k jednotlivým bodům
- Anonymní výsledek hlasování

Otázka perspektivy analýzy



A. Celospolečenská perspektiva

1. Ztráta produktivity pacienta/pečovatele
 - i. Absentismus, presentismus (dočasná/trvalá pracovní neschopnost, vč. invalidity, předčasného odchodu do důchodu, předčasného úmrtí)
 - ii. Volnočasové aktivity
 - iii. Schopnost učit se (či absolvovat jiné vzdělávání)
 - iv. Jiné
2. Vliv na kvalitu života pečovatele/rodiny
3. Přímé výdaje pacientů a pečovatelů (out-of-pocket)
 - i. Doplatky na LP/ZP
 - ii. Doplnky stravy
 - iii. Náklady na pečovatelskou službu
 - iv. Cestovní náklady
 - v. Pobyty v lázních
 - vi. Jiné
4. Podpora poskytovaná nevládními organizacemi, z veřejných sbírek
5. Specifické náklady zaměstnavatele (např. testování covid a jiné)

A. Vládní perspektiva

1. Náklady systému sociálního zabezpečení v ČR
 - i. ČSSZ
 - Invalidní důchody (3 stupně)
 - Dočasná pracovní neschopnost (od 15. dne DPN)
 - ii. Úřad práce
 - Příspěvek na péči
 - Pro osobu blízkou
 - Pro asistenta soc. péče
 - Pro poskytovatele soc. služeb, dětský domov, hospic
 - Příspěvek na mobilitu
 - Příspěvek na zvláštní pomůcky
 - Průkaz osoby se zdravotním postižením a benefity, které z něj vyplývají)
 - iii. OSSZ (Česká správa sociálního zabezpečení)
 - Ošetřovné (max. 9 dní, 16 dní u samoživitelů rodičů)
 - Dlouhodobé ošetřovné (podmínka hospitalizace, která trvala min. 7 dnů + předpoklad dlouhodobé péče min. 30 dnů, max. 90 dnů)
 - iv. Jiné sociální služby: např. místní rozpočty (kraje, obce) a příspěvky pro zřizovatele sociálních služeb (domovy důchodců nebo domy s pečovatelskou službou, LDN – ty jsou hrazeny z místních rozpočtů)
2. Jiné výdaje ze státního rozpočtu (např. testování covid19 ve školách (MŠMT), specifické vládní programy financované přímo ze státního rozpočtu, náklady na prevenci, specifické programy MZDr)

Nedořešené otázky

- Detailní opis procesu a průběhu jednání – status a jednací řád (příkaz ministra)
 - prosinec 2021
 - veřejná část (včetně zástupce MAH) a neveřejná fáze (hlasování)
- Obchodní tajemství v dohodách – zachování mlčenlivosti členů komise
- Delegation zástupců (zejm. ze strany OS a PO)
 - kdo to bude? Onkolog vs. farmakolog (léková politika)
 - ČAVO vs. ČAVO
- Vyřešení konfliktu zájmu
- Personální zajištění ze strany MZ (tajemník)
- Dodržování lhůt
- Připravenost jednotlivých stran
- Předvídatelnost procesu



Value Outcomes s.r.o.

Václavská 316/12, Praha 2

+420 724 166 747

info@valueoutcomes.cz