

Vzácná onemocnění, tedy nemoci postihující méně než jednoho ze dvou tisíc našinců, mají z definice problém se svým včasným rozpoznáváním, se



správnou diagnostikou a s dostupností účinné léčby. S většinou z této zhruba osmitisícovky nemocí se lékař nepotká za celý svůj profesní život, a tak je opravdu obtížné na správnou diagnózu včas pomyslet. Svoji významnou roli tu hraje osvěta. Třeba cystická fibróza si zvýšila pravděpodobnost včasného zachytu rozšířením povědomí o „slaných dětech“. Problémům spojeným se vzácnými nemocí je nasnadě čelit centralizací jejich diagnostiky a léčení na národní i mezinárodní úrovni. Jenom tak se dá zajistit, aby se o pacienty staral personál s odpovídajícími zkušenostmi a aby vložené prostředky přinesly co největší užitek.

Péče o pacienty se vzácnými nemocemi se jistojistě v čase stále zlepšuje, škála účinných léků roste a zdokonaluje se organizace péče jak v jednotlivých státech, tak v rámci celé EU. Nejkontroverznější oblastí péče o pacienty se vzácnými nemocí jsou a budou náklady na jejich léčení. Je celkem zřejmé, že vývoj nového léku na vzácné onemocnění přijde přinejmen-

ším stejně draho jako na často se vyskytující onemocnění, ale tyto náklady se mohou rozpočítat do léčení dramaticky menšího počtu pacientů, proto je úspěšný vývoj nových a účinných preparátů v této oblasti současně skvělou zprávou pro postižené pacienty a noční můrou správců veřejných rozpočtů.

Panuje obecná shoda, že lékům na vzácná onemocnění, „orphanům“, se má dostávat poněkud jiného zacházení než lékům běžným. Jejich vývoj je podporován, patentová ochrana delší a obecné vnímání hranice ochoty platit je vyšší. Standardní pojetí nákladové efektivity je korigováno sociálními a etickými přínosy hodnocené léčby. To, že mohou být pro posuzování „orphanů“ nastaveny jiné parametry než pro běžné léky, neznamená, že by tyto technologie neměly procházet standardním hodnocením a posouzením v rámci HTA. Data pro hodnocení se sice získávají déle a obtížněji, nákladová efektivita se počítá svízelněji, ale kde jinde by měly být výsledky léčby monitorovány a vyhodnocovány pečlivěji než u vzácných onemocnění?

Z dat naší největší pojišťovny vyplývá, že počet pacientů léčných léky z kategorie „orphan“ stále stoupá, stejně jako náklady na jejich léčení. V současné době utrácí VZP za „orphany“ 4,5 % z celkových nákladů na léky a trend napovídá, že jejich podíl dále poroste. Uvidíme, co nám přinese další desetiletí, ale s HTA budeme moci vývoj méně komentovat a více ovlivňovat.

*Přijemné počtení přeje  
MUDr. Pavel Vepřek*

## Vzácná onemocnění v roce 2013



Kateřina Kubáčková



Petr Honěk

úhel pohledu

## volné fórum



Romana Ryšavá



Milan Macek



Tomáš Doležal



Anna Arellanesová



Jaroslav Čermák



Patricie Kotalíková



Ondřej Viklický



Jaroslav Vích

Jiří Müller  
Jakub Jeřábek

Legislativní novinky  
a významná judikatura  
ve zdravotnictví v uplynulém roce

právní  
očekno

## úhel pohledu

**MUDr. Kateřina Kubáčková**  
zástupce ČR v Evropském výboru expertů pro  
vzácná onemocnění (EUCERD)  
Onkologická klinika 2. LF UK a FN Motol

### Vzácná onemocnění v roce 2013

Věřím, že v tomto roce dojde ke schválení dalších nových účinných léků pro vzácná onemocnění, zvláště pro ty, pro které léčba neexistuje, věřím v identifikaci nových vzácných onemocnění. Se zvyšujícím se povědomím o problematice vzácných onemocnění doufám v jejich časnou diagnostiku a v kvalitnější péči o pacienty s těmito onemocněními. V souladu s přijatým vládním

Pacienti se musejí stát  
rovnocennými partnery pro  
regulátory, plátce a politiky.

programem pro vzácná onemocnění předpokládám ustanovení tak potřebných dalších center pro léčbu vzácných onemocnění, která budou zárukou vysoce kvalitní a efektivní zdravotní péče.

V loňském roce vznikla patientská Česká asociace pro vzácná onemocnění, která již sdružuje 28 organizací, je zárukou intenzivního zapojení pacientů do řešení problematiky vzácných onemocnění. Pacienti se musejí stát rovnocennými partnery pro regulátory, plátce a politiky. Implementace směrnice o uplatňování práv pacientů v přeshraniční péči přinese předpoklad užšího

Na léky pro několik desítek  
nemocných nelze aplikovat  
stejně postupy jako na léky  
určené tisícům pacientů.

propojení péče o české pacienty s evropským vzácnými onemocněními s ostatní vyspělou Evropou a vytvoření evropské sítě center nejen pro vzácná onemocnění, ale i pro další vysoce specializovanou nákladnou péči.

Bezспорu zásadním úkolem pro tento rok je ustanovení nových center pro léčbu vzácných onemocnění. Z podstaty vzácnosti vyplývá jednoznačně nutnost koncentrace pacientů na praco-

viště, která budou disponovat komplexní expertizou pro jejich diagnostiku a léčbu, což je v zájmu nejen těch, kteří jsou takovými onemocněními postiženi, ale i jednoznačně v zájmu plátců a poskytovatelů zdravotní péče. Jedině takto může být zaručena nejen kvalita péče, ale i účelné vynakládání limitovaných finančních prostředků.



*Kateřina Kubáčková*

Tato centra musejí být ustanovována ve spolupráci s plátcí, tak aby byla zaručena kontinuita zdrojů a péče.

Co se týká hodnocení zdravotnických technologií (HTA), je třeba říci, že ve své stávající podobě nemůže hrát žádnou úlohu při vstupu nových léčivých přípravků pro vzácná onemocnění. Musí být přizpůsobeno specifitám této skupiny léků a brát v úvahu faktor vzácnosti, závažnosti a chybění jiné možné léčby. Na léky pro několik desítek nemocných nelze aplikovat stejné postupy jako na léky určené tisícům pacientů.

**MUDr. JUDr. Petr Honěk**  
ředitel, Odbor léčiv a zdravotnických  
prostředků VZP

### Orphany pohledem pojišťovny

Náklady Všeobecné zdravotní pojišťovny na léky z kategorie orphan představují zhruba 1,4 mld. Kč, což představuje zhruba 4,5 % veškerých výdajů na léčiva. Tyto náklady se tak zásadně nevymykají poměrným nákladům na tento typ léčby v jiných evropských státech. V podílu centrové péče, která se započala v České republice organizovat ve druhé polovině uplynulé dekády, to je však již

bezmála jedna čtvrtina všech nákladů na léčiva, která jsou ve specializovaných pracovištích hraze-



Petr Honěk

na cena a úhrada Státním ústavem pro kontrolu léčiv, jsou tato léčiva hrazena také „záchranným“ mechanismem § 16. Ten ovšem nepředpokládá např. posouzení nákladové efektivity, proto pokud půjde o léčivo s dlouhodobým a stabilním potenciálem pacientů, je takový způsob úhrady z pohledu plátce nežádoucí, jelikož léčivo neprošlo standardním postupem posouzení léčebných přínosů, nákladů a dopadu do rozpočtu.

Dalším problémem, který letos a v letech následujících budeme řešit, je přechod tzv. vysoce inovativních léčiv do trvalé úhrady. Podmíněnou úhradou si tato léčiva našla své místo v léčebném algoritmu, posouzení a přechod do trvalé úhrady si však vyžádá data z reálné klinické praxe v České republice, jakož i prokázanou nákladovou efektivitu. Splnění těchto zákonných podmínek se může pro některá léčiva stát nepřekonatelnou překážkou, důsledkem pak může být nezařazení léku do úhrad v České republice. Problém naráží

**Náklady Všeobecné zdravotní pojišťovny na léky z kategorie orphan představují zhruba 1,4 mld. Kč, což představuje zhruba 4,5 % veškerých výdajů na léčiva.**

na stále diskutovanou, ale prozatím nikde oficiálně nevyřčenou hranici (koridor) ochoty platit. Výhodiskem z této situace mohou být dohody s plátcí o sdílení rizik, a to formou nepublikovaných slev, které „vylepší“ kalkulaci nákladové efektivity, případně zastropováním nákladů na léčbu pro zvýšení jistoty plátce ve výdajích za takovou léčbu.

Pacienti se vzácným onemocněním jsou nikoliv překvapivě pro pojišťovny ti nejnákladnější. V extrémních pří-

padech léčba takových pacientů vyšplhá až do desítek milionů korun za rok. Vystává tak otázka, jak péči vzácných onemocnění hradit. Zde uvedu jeden příklad, který je možná legendou. Nejmenovaná pojišťovna ve Spolkové republice si spočítala, že pro ni bude méně nákladné, pokud pojištěnci se vzácným onemocněním místo úhrady péče raději zaplatí dům v sousední spolkové zemi, aby jej „přehrála“ konkurenčnímu pojišťovacímu domu. Těžko říci, zda je tento příběh pravdivý, zda se opravdu stal, podstatné je však to, že se stát mohl. Péče o některé pacienty se vzácným onemocněním je extrémně nákladná a takový pacient je pak pro pojišťovnu z finančního pohledu zatěžující. Abychom přešli možným spekulativnímu zvažování se takto nákladných pojištěnců, můžeme tuto kategorii vyjmout z pojištění a nalézat peníze navíc, tato varianta je však vzhledem k současné ekonomické situaci nepravděpodobná. Spíše bych se přikláněl lepšímu propracování přerozdělení a solidarity mezi jednotlivými pojišťovnami, a to ve 100 % nákladů péče za určité diagnózy, tedy od první utracené koruny za péči o takto nákladné pacienty. Absolutní sdílení nákladů za určité diagnózy (v drtivé většině z kategorie vzácných onemocnění) tak smaže „neatraktivitu“ nákladného pojištěnce, kterého by se pojišťovny chtěly potenciálně zbavit.

**Dalším problémem, který letos a v letech následujících budeme řešit, je přechod tzv. vysoce inovativních léčiv do trvalé úhrady. ... (to) si však vyžádá data z reálné klinické praxe v České republice, jakož i prokázanou nákladovou efektivitu.**

V tomto čísle odpovídají naši respondenti na tyto otázky:

1. Co nového očekáváte v postavení, diagnostice a terapii vzácných onemocnění v roce 2013?
2. Co pokládáte v problematice vzácných nemocí za nejpodstatnější?
3. Jakou roli může v budoucnosti sehrát hodnocení zdravotnických technologií (HTA) při vstupu nových „orphan drugs“ do úhrady z veřejného zdravotního pojištění a jaká by se na ně měla aplikovat hranice ochoty platit?



doc. MUDr. Romana Ryšavá,  
CSc., vedoucí oddělení,  
klinika nefrologie, VFN v Praze  
a 1. LF UK

odpovědi Romany Ryšavé:

1. V posledních několika letech se postavení vzácných onemocnění nejen v ČR, ale celosvětově zásadním způsobem mění. Díky zlepšujícím se diagnostickým postupům se jednak odhalují molekulární příčiny některých vzácných onemocnění, jednak se díky poznání patogenese některých onemocnění objevují nové léky, které cíleně zasahují do průběhu těchto onemocnění. Lze očekávat, že na trh bude uvedeno několik dalších nových léků, resp. HTA, které zásadním způsobem změní prognózu nemocných. Vyloučit nelze ani to, že léky, které již nyní patří mezi „orphan drugs“

a užívají se u některých diagnóz, najdou uplatnění i u dalších onemocnění s podobnou patogenezi (např. použití eculizumabu i u nemocí s typickým HUS a C3 nefropatií, nejen u aHUS a PNH).

2. Za největší problém považují to, že u některých diagnóz není ani diagnostický, ani léčebný proces centralizován. Pro lepší záchyt těchto chorob je naprosto nezbytným předpokladem včasná a správná diagnostika. Jelikož tato diagnostika je někdy dosti složitá (časově i finančně náročná), měla by se soustředit do malého počtu laboratoří. Vzhledem k počtům nemocných v ČR lze akceptovat i jen jednu certifikovanou laboratoř v celé ČR, kde bude diagnostika prováděna komplexně a kde její činnost a financování bude garantováno státem, resp. ministerstvem zdravotnictví. S tím souvisí i soustředění péče o nemocné se vzácnými onemocněními do několika málo center, která budou mít návaznost na adekvátní diagnostiku a dále zkušenost s daným onemocněním.

Určitý problém spatřuji i v tom, že rozhodování o léčbě konkrétního nemocného je nyní v rukou revizních lékařů ZP, kteří nemohou ani při sebelepším snažení být odborníky na všechna onemocnění. Navíc může být někdy jejich rozhodování ovlivněno i určitými finančními

limity dané ZP. Z těchto důvodů by bylo mnohem čistší, kdyby pro každé vzácné onemocnění existovala komise sestavená z expertů (nejméně 3, ale spíše 5 lidí) na danou problematiku, která by každý konkrétní případ posoudila a vydala závazné stanovisko pro ZP, ve kterém by samozřejmě zdůvodnila své rozhodnutí. Tyto expertní komise by mohly být jakýmsi „poradním“ orgánem HTA agentury a členy komise by asi mělo jmenovat MZ na doporučení odborných společností.

3. Naprosto zásadní. Pokud bude zaveden slibovaný krok zřízení HTA komise (či Rada HTA), je jisté, že její role v zajištění dostupnosti a úhrady nových orphan drugs bude klíčová. Velmi důležité bude i to, jaké bude složení komise a její „nezávislost“. Z těchto důvodů je naprosto nezbytné, aby v radě měly své zastoupení odborné lékařské společnosti a také patientské organizace, jelikož těch se to především týká.

Hranice ochoty platit je vcelku dobře definovaná, a pokud jsou v současné době náklady na QALY v ČR kolem 1 milionu korun, pak je z mého pohledu akceptovatelné, aby orphan drugs s ročními náklady mezi 2 a 5 miliony korun byly zařazeny mezi dočasně placené a po určité době došlo k vyhodnocení cost-effectiveness nákladů. Je třeba si uvědomit, že léčba

novým lékem je sice nákladná, ale od této léčby je třeba odečíst nemalé náklady na standardní léčebné postupy a komplikace, které by se u pacienta prováděly a řešily, kdyby tuto léčbu nedostal. Tyto náklady často mohou přesáhnout částku jednoho milionu korun ročně. Současně je třeba uznat, že náklady na roční léčbu pomocí orphan drugs vyšší než 5 milionů korun jsou neakceptovatelně vysoké a zde by mělo dojít k dohodě s držiteli registrací buď o snížení ceny léku, nebo o částečné spoluúčasti firmy na financování daného programu.



*prof. MUDr. Milan Macek, jr., DrSc., přednosta, Ústav biologie a lékařské genetiky 2. LF UK a FN Motol*

*odpovědi Milana Macka:*

1. V průběhu roku očekávám ustanovení další skupiny center pro vzácná onemocnění, která projdou schvalovacím procesem Meziresortní a mezioborové pracovní skupiny pro vzácná onemocnění při Ministerstvu zdravotnictví ČR (neurologická onemocnění, endokrinologická onemocnění apod.). Věříme,

že se nám podaří společně se SÚKL provést pilotní „cost of illness“ analýzy u vybraných vzácných onemocnění, abychom měli objektivní podklady pro zdravotní pojišťovny stran úhrad léčivých přípravků pro vzácná onemocnění. Konečně očekávám vytvoření podkladů pro poskytování přeshraniční péče u některých extrémně vzácných diagnóz, kde není možnost efektivní léčby v rámci našeho zdravotního systému v souladu s ustanoveními Směrnice Evropské komise 2011/24/EU o uplatnění práv pacientů v přeshraniční zdravotní péči.

2. Především ustanovení specializovaných center podle doporučení EUCERD.eu a jejich napojení na evropské referenční síť. Řada těchto aktivit u nás již existuje de facto, ale chybí jejich nezbytné uznání de iure. Současně je nutné urychleně řešit současnou „duálnost“ center v našem zdravotním systému a propojit přístupy ministerstva zdravotnictví a zdravotních pojišťoven, které mají svá vlastní kritéria. Jinak řečeno ustanovení center ze strany exekutivy ještě neznamená, že tato centra budou moci „automaticky“ nasmulovat zdravotní péči. Stále nejdou peníze za pacientem a fakultní nemocnice, kde tato centra jsou většinou díky své multidisciplinarity ustanovena, jsou finančně penalizovány za svou „výjimečnost“. Není divu, že pak ředitelství nejsou příliš nakloněna ustanovení center, když to pro ně s výjimkou prestiže znamená další nekompenzované náklady na zdravotní péči. Dále bych uvedl rozvoj registrů, kde stále narážíme na otrocké uplatňování opatření na ochranu osobních údajů. Pacienti problém s otevřeností nemají, chtějí svá data

sdílet pro smysluplné projekty – a jejich čas je kratší z důvodu progresu jejich onemocnění a nechápou „právnícké hrátky“. Tím pochopitelně nenapadám celou problematiku ochrany osobních údajů, ale je potřeba ji řešit z jiného úhlu a rozumně, protože jinak výzkum a sledování účinnosti léčivých přípravků pro vzácná onemocnění nemůže jít vpřed – ostatně to již předjímám další otázkou.

3. Asi se budu opakovat, ale rozhodující je mít centra (kde jsou léky podávány) a registry (kde se zaznamenávají jejich pozitivní a negativní účinky). Klasická HTA analýza založená na evidence-based statistice velkých čísel u vzácných onemocnění nefunguje. Zde je naopak potřeba účinky léků sledovat prospektivně a tak nějak vše dělat „po staru“ – je to vlastně o dobré medicíně, osobním a dlouhodobém kontaktu lékaře s daným pacientem (a jeho rodinou, abych hovořil jako genetik). Vždy si vzpomenu v této souvislosti na pověstné pozorovací schopnosti a empirii prof. Thomayera, který byl schopný od dveří stanovit diagnózu u pacientů. Teď máme navíc všechny možné vyšetřovací technologie, biomarkery, endofenotypy apod., ale je potřeba opět přístup k pacientům individualizovat v tom správném slova smyslu. Navíc je nezbytné rozvíjet inovativní přístupy „orphan drugs“ na trh, jako je např. „risk sharing“ s farmaceutickým průmyslem, kdy přece obě strany mají zájem na tom, aby se léky v klinické praxi osvědčily. Pokud tedy budeme bránit inovativním lékům ve vstupu na náš trh, tvrdě se nám to vymstí. Budeme dále platit za neúčinné klasické (zhusta paliativní) terapie, kte-

ré zákonitě s věkem a progresí choroby jsou stále nákladnější. Copak to nikdo nevidí? Ostatně náš hlavní problém je v tom, že není propojena (a to nejenom finančně) zdravotní a sociální doména. To, co investujeme do kauzální terapie pomocí léčivých přípravků pro vzácná onemocnění, které jsou cíleny přímo na konkrétní molekulární defekt u daného pacienta(-tky), se bohatě vrátí jeho/jejím plným zařazením do pracovního procesu. Z pacienta se stane plátcem daní a zdravotního pojištění a náklady v jedné doméně se „kompenzují“ v příjmech ve druhé sféře. Mnohé příklady již tady máme (strádává onemocnění) a další se očekávají v souladu se zahraničními klinickými studii (cystická fibróza). Ostatně všechna onemocnění se personalizují/stratifikují – takže to, co teď řešíme u vzácných onemocnění, budeme koncem této dekády řešit u častých onemocnění. Podívejme se na celou problematiku odvážně a kreativně, protože pokud to nyní nevyřešíme nebo budeme problém odsouvat, připlave k nám za pár let doslova „tsunami“ analogických problémů u častých chronických onemocnění.

*odpovědi Tomáše Doležala:*

1. Bezpochyby budou pokračovat diskuse o metodice posuzování nákladů a přínosů léčiv na vzácná onemocnění, která doposud není uspokojivě vyřešena v žádné zemi. Na jedné straně jsou ceny některých nových „orfanů“ skutečně velmi vysoké, na druhou stranu se jedná o výzkum a vývoj mnohdy s podobnými náklady jako u ostatních typů léčiv, a vysokým cenám tak lze rozumět. Zajímavé bude pozorovat, jak s hodnocením orfanů naloží

britský NICE (National Institute of Health and Clinical Excellence), který je dostane do své kompetence od dubna 2013 namísto mnohem měkčího procesu v rámci poradní skupiny AGNSS.



*MUDr. Tomáš Doležal, Ph.D.  
ředitel, iHETA*

2. Nejpodstatnější je z mého pohledu dostupnost účinné léčby pro pacienty se vzácnými onemocněními a schopnost jednotlivých systémů co nejdříve rozpoznat orfany, které mají pro pacienty a společnost vysokou přidanou hodnotu. Český systém si zatím s těmito léčivy neví příliš rady. Analýza registrovaných orfanů od roku 2008 ukázala, že celá řada z nich se do systému buď vůbec nedostane, nebo se procesu zhodnocení nákladů a přínosů vyhýbá. Ti odvážnější se snaží jít cestou dočasně úhrady v rámci vysoce inovativního léčivého přípravku. Jak se ale ukazuje, není to uspokojivé řešení, protože po uplynutí doby dočasné úhrady jsme opět na začátku a významně jiná kvalita dat se nedostává.

3. Jsem hluboce přesvědčen, že orfany by neměly být z pro-

cesu HTA vyjmuty, esenciální je základní zhodnocení přínosu, nákladů a tam, kde je to možné, i nákladové efektivity. To by ale nemělo znamenat, že pokud existuje vysoká potřeba nového typu léčby a slibná přidaná terapeutická hodnota v klinických studii, budou tyto léky odmítány pro nevýhodný poměr nákladů a přínosů. Měli bychom zahájit diskusi, jak do fáze posouzení začlenit nespornou sociální a etickou hodnotu, kterou tyto léky přinášejí. Nelze aplikovat jednu hranici ochoty platit na všechny technologie bez ohledu na to, jak je zdravotní systém a celá společnost potřebuje.



*Bc. Anna Arellanesová,  
místopředsedkyně, Česká asociace pro vzácná onemocnění*

*odpovědi Anny Arellanesové:*

1. V loňském roce byl přijat Národní akční plán pro vzácná onemocnění. Jsou v něm formulovány cíle a dílčí kroky, které je třeba udělat do roku 2014. Byla bych velice ráda, kdyby se nám podařilo tyto kroky udělat. Dosáhli bychom tak zlepšení postavení pacientů se vzácným onemocněním.

Významným krokem v tomto směru je definování sítě center,

kteřá o pacienty pečují, a rozvoj jejich mezinárodní spolupráce, jak určuje směrnice o přeshraniční péči – tedy systém center excelence a tvorba evropských referenčních sítí (ERN – European Reference Networks).

V rámci ČR je důležité fungování Národního koordinačního centra, které bylo ustaveno v loňském roce. To by mělo napomoci zvýšení informovanosti odborné veřejnosti, zlepšení diagnostiky i dostupnosti léčby.

2. Z medicínského hlediska je pro nás velice důležitá diagnostika. Ptali jsme se mezi našimi členy a potvrdilo se nám, že velkým problémem je stanovení diagnózy – mnohdy trvá velice dlouho, i několik let. Přitom čím později je diagnóza stanovena, tím horší vyhlídky pacient má. Prioritou pro nás je, aby především mezi lékaři, ale i mezi laicky lidé na existenci vzácných onemocnění vůbec pomyslili, začali se ptát na další informace, obrátili se třeba na koordinační centrum pro vzácná onemocnění. Tím bychom mohli výrazně omezit množství pozdě diagnostikovaných pacientů.

V tomto smyslu je důležitá také výše zmíněná mezinárodní spolupráce – ERN zaměřená na výměnu odborných informací a sdílení schopností expertů.

3. Máme obavu, jaký dopad bude mít zavádění HTA a případně stanovení hranice ochoty platit. Pokud jde o HTA, hodnocení léků pro vzácná onemocnění (tzv. orphan drugs) je obtížné. Z povahy věci není snadné najít dostatek případů, na kterých by se sbírala data. Už proto je třeba při hodnocení léčiv pro vzácná onemocnění postupovat specifickým způsobem, výrazně upravit metodologii.

Pokud jde o hranici ochoty platit, je aplikace na vzácná

onemocnění opět velmi problematická. Orphany vznikají díky motivující regulaci ze strany států, resp. EU. Z čistě tržního pohledu jsou pro farmaceutické firmy nezajímavé. Počet potenciálně léčených pacientů je příliš malý, takže bez pobídek by firmám takové léky nestály za riziko, které s sebou vývoj nese. Nemůžeme tedy nastavením stropu tlačit na trh, aby se ceny snížily.

Pokud bychom aplikovali hranici ochoty platit mechanicky na oblast vzácných onemocnění, stane se léčba, na níž závisí život mnohých pacientů, nedostupnou. To by bylo naprosto v rozporu s myšlenkou, že pacient nemá být diskriminován kvůli své nemoci, na níž léčba vzácných onemocnění stojí.



*doc. MUDr. Jaroslav Čermák, CSc., předseda, Česká hematologická společnost JEP*

*odpovědi Jaroslava Čermáka:*

1. Pokud jde o problematiku vzácných chorob krve tvorby, byl bych velmi rád, kdyby se alespoň do určité míry podařilo ministerstvu zdravotnictví a plátcům zdravotního pojištění

konečně akceptovat a realizovat náš opakovaný návrh na určitou centralizaci zejména diagnostiky těchto chorob a vytvořit podmínky pro efektivní centralizovanou léčbu těchto onemocnění.

2. Odpověď navazuje na odpověď na první otázku, jako podstatnou vidím centralizaci diagnostiky a léčby těchto onemocnění do špičkových pracovišť, kterým ale budou vytvořeny potřebné, zejména finanční podmínky. V současné době jsme již u prakticky všech vzácných onemocnění krve tvorby schopni podat moderní a velmi efektivní léčbu, která může i nemocným s nádorovými chorobami prodloužit život o deset i více let. Přenoc takto úspěšně léčených nemocných samozřejmě narůstá, avšak současný systém úhrad nákladné léčby tento fakt vůbec nerespektuje, což naše možnosti velmi omezuje.

3. V budoucnosti je třeba využívat zejména molekulárněgenetických metod nejen k přesné diagnostice vzácných onemocnění krve tvorby, ale zejména k určení prognostických faktorů u daného nemocného a podle toho určit optimální a efektivní léčbu, i když často finančně nákladnou. U takové léčby je úhrada plátcí zdravotního pojištění v plné výši zcela odůvodněná, nicméně opět to předpokládá určitou centralizaci systému péče, která je zákonitě spojena i se snížením finančních nákladů oproti současné situaci zejména v diagnostické složce.

*odpovědi Patricie Kotalíkové:*

1. Má očekávání v problematice vzácných onemocnění lze vyjádřit jednou větou: očekávám, že bude plněn akční plán pro vzácná onemocnění pro léta 2012–2014. Pokud bych měla vyjádřit svá očekávání více kon-

krétnější a s akcentem optimismu, potěšilo by mě, kdyby byla v letošním roce splněna alespoň polovina z 11 bodů akčního plánu, který vláda na konci srpna 2012 přijala. A přestože chápu, že akční plán je svým charakterem dokument stručný a rámcový, byla bych velmi ráda, kdyby nezůstalo jen u proklamací a slova „zlepšení“ a „podpora“, v akčním plánu tak často a snadno opakovaná, dostala konkrétnější význam a formu, kterou budeme schopni nejen očekávat, ale nakonec i vyhodnotit.



*MUDr. Patricie Kotalíková, poslankyně, členka Výboru pro zdravotnictví PS*

2. Včasnou diagnostiku a s tím související povědomí lékařů. Mrzí a znepokojují mne situace, kdy je pacient dlouhodobě léčen metodou pokus-omyl a na skutečnou příčinu, tedy vzácné onemocnění, se přijde často náhodou. S tím samozřejmě souvisí vzdělávání lékařů a rozvíjení schopností a dovedností udržet v povědomí každodenní reality také myšlenky na odhalení diagnózy, jejíž pravděpodobnost výskytu je tak malá, že se ve standardní výuce

vyskytuje pouze petitem a pod čarou. A v neposlední řadě, a až na prvním místě, považují za významnou také problematiku financování. A to nejenom financování vlastní terapie, ale také financování vzdělávání odborné i laické veřejnosti. A myslím tím vzdělávání systematické a dlouhodobé, nejenom financování související s plněním zadání akčního plánu.

3. Nejsem a snad se ani nechci stát odborníkem na analýzy HTA, ale domnívám se, že tváří v tvář pacientům s diagnózou některého ze vzácných onemocnění jsou všichni analytici v podobné situaci jako lékař. Pro lékaře nad nemocným pacientem je stále ještě v popředí zájmu pacient a snaha o jeho vyléčení, kdy má etická rovina přednost před ekonomickou. V oblasti vzácných onemocnění, v oblasti tak emocionálně citlivé a s malou nebo žádnou variabilitou terapeutických postupů, je i v prostředí HTA analýz etická rovina mnohem významnější než v hodnoceních používaných pro terapii onemocnění „častých“. Pokud jde o stanovení hranice ochoty platit, to není otázka pro lékaře, ani pro společnost. To je otázka politická, související nejenom s ekonomickou silou státu, ale také s politickou odpovědností a odvahou vyměnit šanci na znovuzvolení za žádoucí a korektní rozhodnutí.

*odpovědi Ondřeje Viklického:*

1 + 2. Vzhledem k úsporám a nekonečnému tlaku na levnou léčbu si neumím představit žádný viditelný pokrok v této oblasti. Největší pokrok bych viděl ve viditelných aktivitách patientských organizací domáhajících se adekvátní léčby a vytvoření speciálních fondů



*prof. MUDr. Ondřej Viklický, CSc., přednosta, Klinika nefrologie IKEM*

pro léčbu těchto onemocnění vyčleněných z prostředků zdravotního pojištění.

3. Nejsem expert v této oblasti.



*Ing. Jaroslav Vích, přípravný výbor Sdružení pacientů se vzácnými nefrologickými a hematologickými onemocněními*

*odpovědi Jaroslava Vícha:*

1. Byl bych rád, kdyby se podařilo udělat další krok ke stabilizaci sítě center pro léčbu



vzácných onemocnění a k celkovému zprůhlednění systému poskytování péče. Dnes se k nejistotám, které s sebou nese sama nemoc, ještě přidávají nejistoty ohledně možností léčby, prodleva mezi propuknutím příznaků, stanovením diagnózy a zahájením léčby, otázky úhrady a další. Doufám, že vznik koordinačního centra pro vzácná onemocnění a zavádění evrop-

ských referenčních sítí tomu napomůže.

2. Rozvoj diagnostiky a léčby. Pro mnoho pacientů neexistuje léčba, mnoho pacientů se k diagnóze dostane velmi pozdě. Doufám, že pozornost, které se v oblasti vývoje léků dostalo vzácným onemocněním, se podaří udržet a budou nadále vznikat nové léky i pro tyto z hlediska celku marginální choroby.

3. Zavádění HTA a diskuze o stanovení hranice ochoty platit v oblasti vzácných onemocnění jsou problematické. Vzácná onemocnění jsou specifickou kategorií, ve které není možné uplatňovat ekonomická kritéria stejným způsobem jako pro časté choroby. To by mohlo způsobit, že ani pro ta onemocnění, kde léčba existuje, nebude pro pacienty dostupná.

## Spolupráce mezi pacienty je u vzácných onemocnění důležitá



*Život se vzácným onemocněním přináší mnoho nejistot. Začíná to čekáním na diagnózu a pokračuje nedostatkem informací o jednotlivých nemocech, nejistými možnostmi léčby, nejasným postavením v systému sociální podpory nebo vzdělávání. Jedním ze způsobů, jak těmto nejistotám čelit, je sdílet zkušenosti, nalézat lidi v podobných situacích a navzájem si předávat informace.*

Vzácná onemocnění jsou různorodá a podobně různé jsou i problémy, se kterými se pacienti setkávají. Podobně různorodá jsou i sdružení, která pacientům pomáhají. Některá mají i několik stovek členů, jiná reprezentují velmi vzácné choroby a pacientů v ČR je jen pár. Pestrá je i škála jejich činnosti: může jít o sociální poradenství, pomoc v léčbě nebo opatřování zdravotních pomůcek. Přes různost pacientů i jejich potřeb však organizace pacientů se vzácným onemocněním mají mnohé problémy společné a společně mohou snáze dosáhnout jejich řešení.

Po diskusích na ustavující schůzi si asociace vytkla následující cíle:

- vymezení specifické kategorie vzácných onemocnění v české legislativě,
- standardizace léčebných postupů pro jednotlivé diagnózy v souladu s doporučenými evropskými standardy,
- legislativní zakotvení zvláštního režimu orphan drugs (léků na vzácná onemocnění),
- usnadnění přístupu pacientů k novým lékům a léčebným postupům,
- zakotvení statusu specializovaných léčebných center a rozvoj sítě těchto center (pro některé nemoci dosud neexistuje odpovídající pracoviště),
- posílení přeshraniční spolupráce při léčbě a výzkumu,
- rozvoj diagnostiky tak, aby co nejméně pacientů zůstávalo bez správné diagnózy,
- stanovení pevného časového harmonogramu uskutečňování jednotlivých cílů v rámci národního plánu, který bude naplňovat národní strategii vyhlášenou vládou v roce 2010,
- zohlednění specifík vzácných onemocnění v oblasti sociální politiky.

Česká asociace pro vzácná onemocnění vznikla právě proto, aby tyto společné cíle pomáhala naplňovat. Dnes sdružuje 28 organizací, které dohromady reprezentují více než 1200 členů.

Více informací najdete na našich webových stránkách [www.vzacna-onemocneni.cz](http://www.vzacna-onemocneni.cz).

**Mgr. Jiří Müller a Mgr. Bc. Jakub Jeřábek,  
advokátní koncipienti, Advokátní kancelář Bradáč Advokáti**

## **Legislativní novinky a významná judikatura ve zdravotnictví v uplynulém roce**

*Zdravotnické právo je v současné době jedním z nejdynamičtěji se rozvíjejících odvětví práva. Je pravidlem, že nový rok s sebou vždy přináší legislativní změny, a ani začátek roku 2013 není výjimkou. Dovoľte nám proto, abychom Vás seznámili s významnými legislativními novinkami, které s sebou přináší rok 2013 doplněnými o nejzajímavější soudní rozhodnutí v oblasti zdravotnictví vydaná Nejvyšším soudem ČR v roce 2012.*

### **1. Legislativní novinky**

#### **Dítě a poskytování zdravotních služeb**

Novela zákona o zdravotnických službách hodlá zajistit, aby i nezletilý pacient mohl rozhodovat o své léčbě. I přes to, že některé zákroky jde provést i bez svolení pacienta, ve většině případů je svolení zapotřebí. Za nezletilého pacienta rozhodují doposud jen zákonní zástupci, a to i u relativně jednoduchých zákroků.

Novela si klade za cíl to, aby byl zjišťován názor nezletilého pacienta na poskytnutí zamýšlených zdravotnických služeb. Vychází z toho, že každý jedinec je jedinečným stvořením, každý nezletilý jedinec, stejně jako zletilý, dosahuje různé rozumové a mravní vyspělosti. Jestliže je nezletilec schopen díky své rozumové a mravní vyspělosti a vzhledem ke svému věku posoudit zákrok, který má podstoupit, je nutné svolení nezletilého k tomuto zákroku. Výše uvedené bude platit pouze u akutních zákroků. V případě tzv. plánovaných zákroků bude třeba svolení alespoň jednoho z rodičů.

#### **Vznik pracovního poměru a lékařská prohlídka**

Zákon o specifických zdravotních službách zavedl povinnost osoby ucházející se o zaměstnání podrobit se vstupní lékařské prohlídce před vznikem pracovněprávního vztahu nebo obdobného vztahu.

V zákoníku práce je pak řečeno, že pracovněprávní vztah vzniká nejen z pracovní smlouvy, ale také z dohod o pracích konaných mimo pracovní poměr. I tyto osoby, které jsou někdy označovány jako tzv. „dohodáři“, jsou povinny se podrobit této prohlídce a splnit s tím i současně všechny administrativněprávní úkony, což je praxí považováno za zbytečné zatěžování zaměstnavatelů a zaměstnanců.

Proto je připravena novela zákona o specifických zdravotních službách, která byla již schválena sená-



*Jiří Müller*



*Jakub Jeřábek*

tem a která stanovuje nově povinnost této lékařské prohlídky jen pro ty tzv. „dohodáře“, kteří by měli být zařazeni zaměstnavatelem k práci, která je podle zákona o ochraně veřejného zdraví prací rizikovou, nebo je součástí této práce činnost, pro jejíž výkon jsou podmínky zdravotní způsobilosti stanoveny jinými právními předpisy.

Druhou variantou je případ, kdy zaměstnavatel má pochybnosti o zdravotní způsobilosti osoby ucházející se o zaměstnání, která není prací rizikovou a která má být vykonávána opět na základě dohody o provedení práce nebo dohody o pracovní činnosti. V takovém případě může zaměstnavatel vyžadovat po zaměstnanci podstoupení lékařské prohlídky.

## Větší volnost při změně zdravotního pojištění zamítnuta

Poslanecká sněmovna zamítla návrh, kterým si senát kladl za cíl dosáhnout změnou zákona o veřejném zdravotním pojištění možnosti častěji měnit zdravotní pojišťovny.

Nyní je nutné, aby klient pojišťovny, který chce změnit pojišťovnu, podal vybrané pojišťovně přihlášku nejpozději 6 měsíců před požadovaným dnem změny. Současně lze tuto přihlášku podat jen jednou za rok.

Novela plánovala zavést zákonné pravidlo, že bude klient moci změnit pojišťovnu vždy k prvnímu dni kalendářního čtvrtletí, ale současně plánovala nadále zachovat omezení jedné změny za jeden rok.

## Novela zákona o léčivech

Poslanecká sněmovna schválila novelu zákona o léčivech. Novela navazuje na dosavadní poznatky z praktického života a také v sobě zahrnuje novou směrnici EU.

Tato novela zavádí například elektronické recepty. Recepty budou evidovány v elektronické databázi, která bude přístupná pouze lékařům. Hlavním důvodem pro zavedení elektronických receptů má být to, že v současné době nemusí vždy lékař vědět, jaké další léky pacient může užívat, jejich evidenci v systému se má tedy dosáhnout přehlednosti a i jisté ochrany samotných pacientů. Druhým důvodem zavedení těchto forem receptů je snaha o omezení jejich zneužívání a padělání.

Část novely upravuje také ochranu proti nebezpečí pronikání padělaných léků na trh a zneužívání léků, věnuje se i úpravě dozoru nad léky.

Zavádí se také odpovědnost držitelů registrací konkrétního léčivého příspěvku za detekci, hodnocení, pochopení a prevenci nežádoucích účinků. Zároveň se ukládá povinnost poskytnout veškeré informace o registrovaných léčivých přípravcích (studie, klinická hodnocení atp.), možnost udělení podmíněné registrace léčivého přípravku a mění se podmínky klasifikace humánních léčivých přípravků pro výdej a prodej vyhrazených léčiv.

## 2. Z rozhodnutí Nejvyššího soudu ČR

V posledních letech strmě stoupá počet žalob pacientů, jejichž předmětem je uplatnění odpovědnosti zdravotnických zařízení za škodu na zdraví způsobenou při lékařském zákroku. Také v uplynulém roce 2012 se judikatura ve věcech uvedených žalob dále vyvíjela, a tak považujeme za vhodné upozornit na některá z významných rozhodnutí.

## Odpovědnost za škodu na zdraví způsobenou při laparoskopickém odstranění žlučnicku a postup lege artis

Nejvyšší soud ČR v řízení vedeném pod sp. zn. 25 Cdo 1981/2011 projednal žalobu žalobkyně, která podstoupila laparoskopické odstranění žlučnicku, po němž nastaly pooperační potíže. Po týdnu byla u žalobkyně provedena rekonstrukce žlučových cest a bylo zjištěno, že dochází k průsaku žluče z protržené žlučové cesty do pobříšnice, což vyvolalo silný zánět pobříšnice a nutnost hospitalizace na JIP, následné omezení schopnosti žalované vykonávat dosavadní práci a transplantaci jater.

Soudní znalec konstatoval, že operátor obecně postupoval při plánování a provádění operace lege artis, tedy v souladu se současnými dostupnými poznatky lékařské vědy. Podle znalce však chybou operátora při samotné operaci došlo k záměně a k odstranění ductus choledochus místo ductus cysticus. *Tato chyba byla odvratitelná a operátor si již při provedení zákroku nemohl být jist jeho správností, proto bylo namístě provést následnou kontrolu, což neučinil.*

*Nejvyšší soud konstatoval, že mezi závěrem znalceho posudku o postupu lege artis a závěrem o porušení povinnosti žalované při poskytování léčebné péče je v tomto případě zřejmý rozpor. Důvodem je příliš zužující pojetí pojmu lege artis ve znaleckém posudku. Postup lege artis není v právním řádu definován a v daném případě se dle soudu skládá z diagnostiky, provedeního výkonu, případných komplikací a jejich následného léčení. Pojem lege artis nelze vztahovat pouze na fázi diagnostiky, plánování operace a její jednotlivé kroky bez konkrétních souvislostí a následků (vyjmutí jiného orgánu v určitém kroku operace).*

*Soud rozhodl, že samotný závěr znalce nevylučuje v tomto případě obecnou odpovědnost žalované za škodu podle § 420 občanského zákoníku (dále jako „OZ“) za podmínky, že jsou naplněny všechny předpoklady vzniku obecné odpovědnosti včetně zavinění, byť jen z nevědomé nedbalosti. Není tedy oprávněná námitka žalované, že by takový rozsudek představoval zásadní obrat v soudní praxi, kdy by i postup zdravotnického zařízení lege artis mohl zakládat jeho odpovědnost za škodu.*

*Nejvyšší soud konstatoval, že byl-li léčebný zákrok z pohledu odborného (medicínského) objektivně nesprávný a současně šlo o chybu odvratitelnou, nelze postup označit za lege artis, jak učinil soudní znalec. Porušení právní povinnosti představuje objektivní nesoulad mezi tím, jak mělo být podle práva postupováno, a tím, jak ve skutečnosti postupováno bylo. Ze strany operátora tedy šlo o pochybení, byť učiněné v nevědomé nedbalosti.*

## Odpovědnost za škodu na zdraví způsobenou při operaci štítné žlázy

Nejvyšší soud se v rozhodnutí sp. zn. 25 Cdo 2743/2010 ze dne 27. 3. 2012 zabýval žalobou žalobkyně na náhradu škody způsobené při operaci štítné žlázy. Následující den po operaci si žalobkyně stěžovala na chraptot a při vyšetření byla zjištěna paréza její levé hlasivky. Revizní operaci žalobkyně odmítla a dle doporučení lékařů zahájila léčbu na foniatrii. Bylo zjištěno, že žalobkyně trpí hlasovou únavou, zejména při větší hlasové zátěži, hlas je tišší, s náznakem lehkého zastřeňování či chraptivosti. Podle znalce takové obtíže souvisejí s parézou levého zvrtného nervu, což je jedna z komplikací, která je u operace štítné žlázy dobře známa, dochází k ní ve 2 až 4 % případů.

Při samotné operaci nebyly dle znalce zvrtné nervy inervující hlasivky přímo poškozeny ani přerušeny, *operace i pooperační léčba byla lege artis*. Ošetřující lékařka žalobkyni vysvětlila podstatu léčebného postupu, seznámila ji s důsledky operačního výkonu i s možnými komplikacemi a riziky, žalobkyně s výkonem souhlasila, což písemně potvrdila. Při samotné operaci nebyl dotčen zvrtný nerv žalobkyně a paréza hlasivky je jednou z komplikací, která je u tohoto druhu operace velmi dobře známa. *Soud dospěl k závěru, že nejsou splněny předpoklady obecné odpovědnosti žalované za škodu podle § 420 OZ, neboť se žalovaná nedopustila žádného porušení právní povinnosti a nebyla prokázána příčinná souvislost mezi jednáním žalované a vznikem škody.*

Současné nejde o poškození způsobené věcí použitou při léčebném výkonu ve smyslu § 421a OZ a ani aplikace § 420a OZ o odpovědnosti za škodu způsobenou provozní činností není namístě, neboť poskytování zdravotní péče nelze považovat za provozní činnost. Žalobkyně s nárokem na náhradu škody na zdraví neuspěla.

## Odpovědnost za škodu na zdraví způsobenou novorozenci při porodu

V řízení vedeném Nejvyšším soudem ČR pod sp. zn. 25 Cdo 3981/2009 se žalobci dovolávali rozhodnutí o odpovědnosti nemocnice za škodu na zdraví novorozence, ke které mělo dojít při jeho porodu v důsledku kontuze jeho krční míchy, takže je od krční páteře ochrnuto, není schopno samo dýchat a přijímat potravu, je trvale závislé na ventilátoru, má tracheostomii a gastrostomii, je těžce psychomotoricky opožděno, nemluví a vyžaduje nepřetržitý dozor, neboť si samo dokáže odstranit dýchací okruh. Podle znalce došlo při porodu s největší pravděpodobností k uklouznutí lékaře při přiložení kleštin a následnému poranění novorozence.

Podle ust. § 421a odst. 1 OZ každý odpovídá i za škodu způsobenou okolnostmi, které mají původ v povaze přístroje nebo jiné věci, jichž bylo při plnění závazku použito. Těto odpovědnosti se nemůže zprostit. Podle druhého odstavce uvedeného ustanovení se odpovědnost podle odstavce 1 vztahuje i na poskytování zdravotnických, sociálních, veterinárních a jiných biologických služeb.

Nejvyšší soud v rozhodnutí ze dne 26. 4. 2012 konstatoval, že nedošlo k porušení ust. § 421a OZ, když dynamické působení kleštin na hlavu a krk ani jejich sklouznutí nebylo vyvoláno jejich samotným použitím, ani projevem jejich vlastní povahy. Závěr, že škoda byla způsobena okolnostmi majícími původ v povaze věci použité při zákroku, nelze učinit, byla-li škoda způsobena okolností, jež má jiný původ, než jsou samotné účinky věci použité při zákroku. Vedl-li např. k poškození zdraví chybně provedený zákrok, nelze toto ustanovení aplikovat. *Věc je potřeba posoudit podle obecné odpovědnosti zdravotnického zařízení za škodu podle § 420 občanského zákoníku, když však žalobce nebude v řízení úspěšný, pokud žalovaný prokáže, že škodu nezavinil.*

