



Orphan drugs

Mgr. **Filip Vrubel**
náměstek ředitele

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

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

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**

Orphan drugs

- ❏ Pacienti se vzácným onemocněním mohou být plně soběstační 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

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 SÚKL), 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)

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

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 (buť implicitně)**

Děkujeme za pozornost