
SPOLEČNÉ STANOVISKO VZP ČR, SPOLEČNOSTI PRO METABOLICKÁ ONEMOCNĚNÍ SKELETU ČLS JEP A PRACOVNÍ SKUPINY PRO DĚTSKOU ENDOKRINOLOGII ČESKÉ PEDIATRICKÉ SPOLEČNOSTI ČLS JEP

**DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ
S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY BUROZUMAB V INDIKACI
LÉČBY X-VÁZANÉ HYPOFOSFATEMIE A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH
SPECIALIZOVANÝCH CENTER**

PRACOVNÍ SKUPINA PRO NEHRAZENÉ LP

**ÚSTŘEDÍ VZP ČR
3. 10. 2019**

PREAMBULE

Zástupci Všeobecné zdravotní pojišťovny České republiky (dále jen „VZP ČR“), zástupci Společnosti pro metabolická onemocnění skeletu České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně (dále také jen „SMOS“) a zástupci Pracovní skupiny pro dětskou endokrinologii České pediatrické společnosti (dále také jen „ČPS“) ČLS JEP se shodují na medicínské potřebě zajištění léčby léčivými přípravky (dále jen „LP“) s obsahem účinné látky BUROZUMAB v indikaci léčby X-vázané hypofosfatemie.

SPOLEČNÉ STANOVISKO

Za účelem potřeby upřesnění odborných doporučení pro použití LP s obsahem účinné látky BUROZUMAB v indikaci léčby X-vázané hypofosfatemie formulují VZP ČR, SMOS a ČPS toto **SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY BUROZUMAB V INDIKACI LÉČBY X-VÁZANÉ HYPOFOSFATEMIE A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.**

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ A ZPŮSOB REALIZACE ÚHRADY

LP s obsahem účinné látky BUROZUMAB (ATC skupina M05BX05, LP CRYSVITA)

je vhodné použít při léčbě pacientů s X-vázanou hypofosfatemí (X-Linked Hypophosphataemia, XLH) na specializovaných klinických pracovištích (viz DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB) s typickými biochemickými změnami (hypofosfatemie a hyperfosfaturie), s rentgenograficky prokázanou rachitidou a detekcí zvýšené sérové hladiny cytokinu FGF23, u dětí ve věku 1 rok a starších s neukončeným růstem při splnění alespoň jedné z níže uvedených podmínek (kritérií) a zároveň při dodržení zásady úhrady pouze nejméně ekonomicky náročného provedení LP:

1. Zdokumentovaná závažná nesnášenlivost standardní konvenční léčby (substituce fosfáty a aktivním vitaminem D).
2. Neúčinnost konvenční terapie podávané po dobu delší než 1 rok, posuzovaná podle následujících kritérií:
 - a) nedochází ke zlepšení deficitu růstu (růstová rychlost posuzovaná za období minimálně 6 měsíců < 0 SD a současně pozice v růstovém grafu $< -2,0$ SD nebo pozice v růstovém grafu $< -2,5$ SD nebo růstová rychlost posuzovaná za období minimálně 6 měsíců $< -1,0$ SD),
 - b) na kontrolním nativním RTG snímku přetrvávají známky rachitidy (snížení Rickets Severity Score o méně než 0,5).

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládaný počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky BUROZUMAB v indikaci léčby X-vázané hypofosfatemie cca 7 (za VZP ČR).

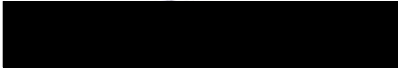
DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB

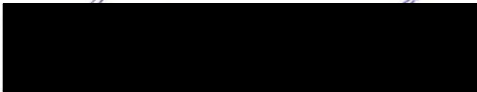
- 1) Pediatrická klinika, Fakultní nemocnice v Motole, Praha
- 2) Dětská klinika, Fakultní nemocnice Olomouc, Olomouc
- 3) Klinika dětského lékařství, Fakultní nemocnice Ostrava, Ostrava
- 4) Dětská nemocnice, Fakultní nemocnice Brno, Brno
- 5) Dětská klinika, Fakultní nemocnice Hradec Králové, Hradec Králové
- 6) Klinika dětí a dorostu Fakultní nemocnice Královské Vinohrady, Praha

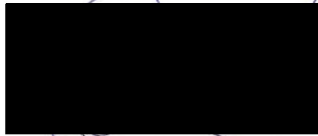
PŘEDPOKLÁDANÝ FINANČNÍ DOPAD

Předpokládaný dopad hrazení LP s obsahem účinné látky BUROZUMAB (ATC skupina M05BX05) v indikaci léčby X-vázané hypofosfatemie do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši cca 29 mil. Kč za rok.

V Praze dne 3. 10. 2019


.....
Ing. David Šmehlík, MHA
náměstek ředitele VZP ČR pro zdravotní péči


.....
prof. MUDr. Milan Bayer, CSc.
místopředseda Společnosti pro metabolická onemocnění skeletu ČLS JEP


.....
prof. MUDr. Zdeněk Šumník, Ph.D.
místopředseda Pracovní skupiny pro dětskou endokrinologii ČPS ČLS JEP

