

---

## SPOLEČNÉ STANOVISKO VZP ČR A MPSCF ČLS JEP

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÉHO PŘÍPRAVKU  
S OBSAHEM KOMBINACE ÚČINNÝCH LÁTEK IVAKAFTOR,  
TEZAKAFTOR A ELEXAKAFTOR V INDIKACI LÉČBY  
CYSTICKÉ FIBRÓZY A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH  
SPECIALIZOVANÝCH CENTER

KOMISE PRO NEHRAZENÉ LP

---

ÚSTŘEDÍ VZP ČR

15. 6. 2021

---

### PREAMBULE

---

Zástupci Všeobecné zdravotní pojišťovny České republiky (dále jen „VZP ČR“) a Mezioborové pracovní skupiny pro cystickou fibrózu při předsednictvu České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně (dále také jen „MPSCF ČLS JEP“) se shodují na medicínské potřebě zajištění léčby léčivým přípravkem (dále jen „LP“) s obsahem kombinace účinných látek IVAKAFTOR, TEZAKAFTOR a ELEXAKAFTOR v indikaci léčby cystické fibrózy (dále také jen „CF“).

---

### SPOLEČNÉ STANOVISKO

---

Za účelem potřeby upřesnění odborných doporučení pro použití LP s obsahem kombinace účinných látek IVAKAFTOR, TEZAKAFTOR a ELEXAKAFTOR v indikaci léčby CF formulují VZP ČR a MPSCF ČLS JEP toto SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÉHO PŘÍPRAVKU S OBSAHEM KOMBINACE ÚČINNÝCH LÁTEK IVAKAFTOR, TEZAKAFTOR A ELEXAKAFTOR V INDIKACI LÉČBY CYSTICKÉ FIBRÓZY A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.

### **DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ A ZPŮSOB REALIZACE ÚHRADY**

LP s obsahem kombinace účinných látek IVAKAFTOR, TEZAKAFTOR A ELEXAKAFTOR (LP Kaftrio; ATC kód R07AX32) je v kombinaci s monokomponentními LP s obsahem účinné látky IVAKAFTOR (LP Kalydeco; ATC kód R07AX02) indikován k léčbě cystické fibrózy u pacientů ve věku od 12 let, kteří mají alespoň jednu mutaci F508del v genu pro transmembránový regulátor vodivosti (CFTR), tzn. zahrnující jak pacienty s genotypem F508del/jiná mutace, tak pacienty s genotypem F508del/F508del.

## PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je celkový počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem kombinace účinných látek IVAKAFTOR, TEZAKAFTOR a ELEXAKAFTOR (ATC kód R07AX32) v kombinaci s monokomponentními LP s obsahem účinné látky IVAKAFTOR (ATC kód R07AX02) v indikaci léčby CF za VZP ČR cca 225.

Uvedený počet (225) pacientů zahrnuje kompletní spektrum všech vhodných pacientů na základě kritéria věku a genotypu a nezohledňuje fakt, zda je pacient již léčen některým z dříve dostupných léků, ovlivňujících chloridový kanálek CFTR (LP Kalydeco samostatně, LP Orkambi či LP Symkevi v kombinaci s LP Kalydeco), či nikoliv.

## DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB


- 1) FN Brno
- 2) FN Hradec Králové
- 3) FN Motol
- 4) FN Olomouc
- 5) FN Plzeň


Povinností poskytovatele zdravotních služeb je monitorovat a hodnotit prospěch z léčby, compliance pacienta a nežádoucí účinky léčby v souladu s "Doporučením pro léčbu cystické fibrózy přípravkem Ivakaftor-Tezakaftor-Elexakaftor (LP Kaftrio)" ze dne 8.12.2020. Odpovídající klinická data budou zaznamenávána do národního registru pacientů s CF. VZP ČR bude poskytnut report o výsledcích sledování léčby během 1. a 2. roku.

## PŘEDPOKLÁDANÝ FINANČNÍ DOPAD DO ROZPOČTU VZP ČR

Předpokládaný dopad úhrady LP s obsahem kombinace účinných látek IVAKAFTOR, TEZAKAFTOR a ELEXAKAFTOR (ATC kód R07AX32) v kombinaci s monokomponentními LP s obsahem účinné látky IVAKAFTOR (ATC kód R07AX02) v indikaci léčby CF do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 541,4 mil. Kč v prvním roce vstupu LP na trh.**

V Praze dne 15. 6. 2021

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

  
.....  
prof. MUDr. Pavel Dřevínek, Ph.D.  
člen výboru Mezioborové pracovní skupiny  
pro cystickou fibrózu při předsednictvu ČLS JEP

