

SPOLEČNÉ STANOVISKO VZP ČR A PRACOVNÍ SKUPINY  
DĚTSKÉ HEMATOLOGIE ČHS ČLS JEP  
A PEDIATRICKO ONKOLOGICKÉ SEKCE ČESKÉ  
ONKOLOGICKÉ SPOLEČNOSTI ČESKÉ LÉKAŘSKÉ  
SPOLEČNOSTI JANA EVANGELISTY PURKYNĚ (POS ČOS  
ČLS JEP)

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ  
S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY AZACITIDIN A SÍŤ  
INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER

PRACOVNÍ SKUPINA PRO NEHRAZENÉ LP

ÚSTŘEDÍ VZP ČR  
5. 9. 2019

PREAMBULE

Zástupci Všeobecné zdravotní pojišťovny České republiky (dále jen „VZP ČR“) a zástupci Pracovní skupiny dětské hematologie České hematologické společnosti České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně (dále také jen „PSDH ČHS ČLS JEP“) a zástupci Pediatricko onkologické sekce České onkologické společnosti České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně (dále také jen „POS ČOS ČLS JEP“) se shodují na medicínské potřebě zajištění moderní léčby dětských pacientů do 18 let věku, případně mladých dospělých s nádorovým onemocněním vzniklým v dětském věku s progredujícími, relabujícími, refrakterními nebo primárně metastatickými malignitami vysokého rizika, kteří jsou léčeni v dětských hematoonkologických centrech a v Národních onkologických centrech léčivými přípravky (dále také jen „LP“) s obsahem účinné látky AZACITIDIN ve vybraných indikacích.

Cílená léčba, event. imunoterapie je volena individuálně, s ohledem na mechanismus účinku jednotlivých léčivých přípravků na základě komplexního zhodnocení individuálního biologického profilu nádoru a jeho nositele zahrnující mj. histopatologické vyšetření, včetně zhodnocení nádorového mikroprostředí, cílené PCR vyšetření, celogenomové či celoexomové sekvenování somatické i germinální, fosfoproteomiku, molekulárně cytogenetická vyšetření, vč. metod arrays, vyšetření celkové mutační nálože a mutačního podpisu, předlécenost pacienta spolu s jeho konkomitantní medikací. Tato léčba je nasazována jen tehdy, není-li k dispozici adekvátní terapie vyšší priority.

Odborné společnosti zaručují, že budou indikovat léčbu výlučně za podmínek vědeckých důkazů její účinnosti a bezpečnosti, které vyplývají z realizovaných klinických studií studujících léčivo v předmětné indikaci.

## SPOLEČNÉ STANOVISKO

---

Za účelem potřeby upřesnění odborných doporučení pro použití cílené léčby dětských nádorových onemocnění LP s obsahem účinné látky AZACITIDIN u dětských pacientů formulují VZP ČR a PSDH ČHS a POS ČOS toto SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY AZACITIDIN A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.

### **DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ**

LP s obsahem účinné látky AZACITIDIN (ATC skupina L01BC07), který je indikován k léčbě pokročilých stadií myelodysplastického syndromu, juvenilní myelomonocytární leukémie, akutní myeloidní leukémie a vybraných solidních nádorů především CNS s prokázanou epigenetickou komponentou.

### **PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ**

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládaný počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky AZACITIDIN cca 6 za VZP za rok.


### **DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB**

- 1) FN Motol
- 2) FN Brno
- 3) FN Hradec Králové
- 4) FN Plzeň
- 5) FN Olomouc
- 6) FN sP Ostrava
- 7) Nemocnice České Budějovice
- 8) Masarykova nemocnice Ústí nad Labem

## PŘEDPOKLÁDANÝ FINANČNÍ DOPAD

Předpokládaný dopad hrazení LP s obsahem účinné látky AZACITIDIN (ATC skupina L01BC07) do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 6 mil. Kč za rok.**

V Praze dne 5. 9. 2019

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

  
.....  
prof. MUDr. Jan Starý, Dr.Sc.  
předseda Pracovní skupiny dětské hematologie České hematologické společnosti ČLS JEP

  
.....  
prof. MUDr. Jaroslav Štěrba, Ph.D.  
předseda Pediatricko onkologické sekce České onkologické společnosti ČLS JEP