

SPOLEČNÉ STANOVISKO VZP ČR A PRACOVNÍ SKUPINY DĚTSKÉ HEMATOLOGIE ČHS ČLS JEP

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY BORTEZOMIB 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“) 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 léčivým přípravkem (dále také jen „LP“) s obsahem účinné látky 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, předléčenost pacienta spolu s jeho konkomitantní medikací. Tato léčba je nasazována jen tehdy, není-li k dispozici adekvátní terapie vyšší priority.

Odborná společnost zaručuje, že bude 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 BORTEZOMIB u dětských pacientů s nádorovým onemocněním exprimujícím ve zvýšené míře proteinový komplex proteasom S26 formulují VZP ČR a PSDH ČHS toto SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ

PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY BORTEZOMIB A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ

LP s obsahem účinné látky BORTEZOMIB (ATC skupina L01XX32), který je inhibitorem proteasomu S26. Proteasom hraje zásadní roli v proteinovém metabolismu buňky a podílí se tak na řízení buněčného cyklu a apoptózy, reparaci genomové DNA či mezibuněčné komunikaci. Pomocí tohoto děje jsou v buňce eliminovány chybně sestavené proteiny s následnou inhibicí transkripčního nukleárního faktoru kappa B (NFkappaB), který zvyšuje přežívání nádorových buněk a chrání ji před apoptotickým mechanismem. Inhibice proteasomu 26S zabraňuje cílené proteolýze a ovlivňuje mnohočetnou signalizační kaskádu uvnitř buněk, jejímž konečným výsledkem je odumření nádorových buněk. BORTEZOMIB částečně překonává negativní prognostický vliv tzv. nepříznivých chromozomálních aberací, a proto by měl být jedním z léků první volby u těchto nemocných.

BORTEZOMIB je vhodné použít u dětských pacientů s nádorovým onemocněním exprimujícím ve zvýšené míře proteinový komplex proteasom S26.

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládaný počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky BORTEZOMIB cca 30 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) FNsP Ostrava
- 7) Nemocnice České Budějovice
- 8) Masarykova nemocnice Ústí nad Labem

PŘEDPOKLÁDANÝ FINANČNÍ DOPAD

Předpokládaný dopad hrazení LP s obsahem účinné látky BORTEZOMIB (ATC skupina L01XX32) do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 2 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, DrSc.
předseda Pracovní skupiny dětské hematologie České hematologické společnosti ČLS JEP