
**SPOLEČNÉ STANOVISKO VZP ČR 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 DABRAFENIB 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 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 Národních onkologických centrech.

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 DABRAFENIB u dětských pacientů s rekurentními, relabujícími, progredujícími nebo metastatickými nádory, u kterých je identifikována zvýšená mutační nálož V600 genu BRAF a RAF formulují VZP ČR a POS ČOS toto **SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY DABRAFENIB A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.**

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ

LP s obsahem účinné látky DABRAFENIB (ATC skupina L01XE23), který je inhibitor RAF kináz. Onkogenní mutace genu BRAF vedou ke konstitutivní aktivaci dráhy RAS/RAF/MEK/ERK. Mutace genu BRAF byly zaznamenány s vysokou frekvencí výskytu u specifických nádorových onemocnění u dětí, adolescentů a mladých dospělých pacientů. Nejčastější mutací genu BRAF je V600E. DABRAFENIB vykazuje supresi následných farmakodynamických biomarkerů (fosforylovaných ERK) a inhibuje buněčný růst buněčných linií nádorů s mutací V600 genu BRAF.

DABRAFENIB je vhodné použít u dětských pacientů s rekurentními, relabujícími, progredujícími nebo metastatickými nádory, u kterých je identifikována mutace V600E genu BRAF.

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

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


DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB

- 1) Klinika dětské hematologie a onkologie FN Motol
- 2) Klinika dětské onkologie FN Brno

PŘEDPOKLÁDANÝ FINANČNÍ DOPAD

Předpokládaný dopad hrazení LP s obsahem účinné látky DABRAFENIB (ATC skupina L01XE23) do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 4, 5 mil. Kč za rok.**

V Praze dne 5. 9. 2019


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


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