
**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 RUXOLITINIB 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 RUXOLITINIB u dětských pacientů s nádorovým onemocněním a prokázanou aktivací Janusovy kinázy (JAK1-2) či mutací zvyšující funkci enzymů jako je JAK2V617F formulují VZP ČR a POS ČOS toto SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY RUXOLITINIB A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ

LP s obsahem účinné látky RUXOLITINIB (ATC skupina L01XE18), který je selektivní inhibitor Janus kináz (JAK) JAK1 a JAK2. Tyto kinázy jsou zapojeny do signalizace mnoha cytokinů a růstových faktorů s významnou úlohou při hematopoéze a imunitních funkcích. RUXOLITINIB inhibuje signální dráhu JAK-STAT a buněčnou proliferaci u buněčných modelů malignit závislých na cytokinech, stejně jako u na cytokinech nezávislého modelu využívajícího Ba/F3 buňky exprimující JAK2V617F mutovaný protein s hodnotou IC50 v rozmezí 80–320 nM.

RUXOLITINIB je vhodné použít u dětských pacientů s nádorovým onemocněním a prokázanou aktivací Janusovy kinázy (JAK1-2) či mutací zvyšující funkci enzymů jako je JAK2V617F.

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládaný počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky RUXOLITINIB cca 3 za VZP ČR za rok.

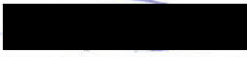
DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB

- 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 RUXOLITINIB (ATC skupina L01XE18) do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 3 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