



Vyvěšeno dne: 3. 3. 2026

Státní ústav pro kontrolu léčiv se sídlem Šrobárova 49/48, 100 00 Praha 10 (dále jen „Ústav“), jako správní orgán příslušný na základě ustanovení § 15 odst. 10 zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění do 31. 12. 2025 (dále jen „zákon o veřejném zdravotním pojištění“), ve správním řízení provedeném dle ustanovení § 39f, § 39g a § 39h zákona o veřejném zdravotním pojištění a ustanovení § 67 a násl., § 140 a § 144 zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „správní řád“) vydává toto

ROZHODNUTÍ

Ústav ve správním řízení o **stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady** ze zdravotního pojištění léčivého přípravku:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML

zahájeném **dne 28. 2. 2025** na základě žádosti společnosti:

Pfizer Europe MA EEIG

IČ: 696658156

Boulevard de la Plaine 17, 1050 Bruxelles

Belgické království

Zastoupena:

Pfizer, spol. s r.o.

IČ: 49244809

Stroupežnického 17, 150 00 Praha 5

(dále jen „žadatel“ nebo „Pfizer“)

vedeném pod sp. zn. SUKLS75830/2025, vedle žadatele, s těmito účastníky řízení

Česká průmyslová zdravotní pojišťovna

IČ: 47672234

Jeremenkova 161/11, 70300 Ostrava - Vítkovice

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z.s.

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3

Oborová zdravotní pojišťovna zaměstnanců bank, pojišťoven a stavebnictví

IČ: 47114321

Roškotova 1225/1, 140 00 Praha 4

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z.s.

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3

RBP, zdravotní pojišťovna

IČ: 47673036

Michálkovická 967/108, 710 00 Slezská Ostrava

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z.s.

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3

Vojenská zdravotní pojišťovna České republiky

IČ: 47114975

Drahobejlova 1404/4, 190 00 Praha 9

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z.s.

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3

Zaměstnanecká pojišťovna Škoda

IČ: 46354182

Husova 302, 293 01 Mladá Boleslav

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z.s.

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3

Zdravotní pojišťovna ministerstva vnitra České republiky

IČ: 47114304

Vinohradská 2577/178, 130 00 Praha 3

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z.s.

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha 3

(dále jen „Svaz“)

Všeobecná zdravotní pojišťovna České republiky

IČ: 41197518

Orlická 2020/4, 130 00 Praha 3

(dále jen „VZP“)

a provedeném dle ustanovení § 39a, § 39b a § 39c odst. 4 zákona o veřejném zdravotním pojištění

1. Léčivému přípravku:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML

na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. d) a dle ustanovení § 39a odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění **stanovuje maximální cenu ve výši 145 873,21 Kč.**

Tento výrok rozhodnutí je ve smyslu ustanovení § 140 odst. 2 a 7 správního řádu podmiňujícím výrokem k výroku č. 2 uvedeném v tomto rozhodnutí, který je ve vztahu k tomuto výroku výrokem navazujícím.

2. Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML

na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. e) a dle ustanovení § 39c odst. 1 zákona o veřejném zdravotním pojištění **zařazuje do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků s obsahem léčivé látky marstacitab,**

a na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. a) a dle ustanovení § 39c odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění tomuto léčivému přípravku **stanovuje úhradu ze zdravotního pojištění ve výši 139 223,13 Kč,**

a na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. b) a dle ustanovení § 39b odst. 10 písm. a) a c) zákona o veřejném zdravotním pojištění a ustanovení § 34 odst. 1 písm. a) a b), § 34 odst. 2 a § 36 odst. 4 vyhlášky č. 376/2011 Sb., kterou se provádějí některá ustanovení zákona o veřejném zdravotním pojištění, ve znění do 31. 12. 2025 (dále jen „vyhláška č. 376/2011 Sb.“), **mu stanovuje podmínky úhrady ze zdravotního pojištění takto:**

A,E/HEM

P: Marstacimab je hrazen v rutinní profylaxi krvácivých příhod u pacientů ve věku 12 let a starších, s tělesnou hmotností nejméně 35 kg, s

- těžkou hemofilií A bez inhibitoru faktoru VIII nebo
- těžkou hemofilií B bez inhibitoru faktoru IX.

Odůvodnění

Dne 28. 2. 2025 byla Ústavu doručena žádost účastníka Pfizer o stanovení maximální ceny a výše a podmínek úhrady ze zdravotního pojištění léčivého přípravku:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML

(dále jen „LP HYMPAVZI“)

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení, které Ústav vede pod sp. zn. SUKLS75830/2025.

Účastníci řízení mohli v souladu s ustanovením § 39g odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění navrhnout důkazy a činit jiné návrhy ve lhůtě 15 dnů od zahájení řízení. V této lhůtě Ústav neobdržel žádná podání účastníků řízení.

Dne 12. 3. 2025 Ústav vložil do spisu pod č. j. sukl89045/2025 cenové reference pro stanovení maximální ceny a výše úhrady. Tyto již nejsou relevantní.

Dne 2. 5. 2025 Ústav vyzval žadatele k součinnosti poskytování informací spočívající v předložení a doplnění farmakoeconomických podkladů. K tomu mu usnesením č. j. sukl166721/2025 stanovil lhůtu 10 dní ode dne doručení předmětného usnesení.

Dne 9. 5. 2025 Ústav pod č. j. sukl178029/2025 obdržel žádost účastníka Pfizer o přerušení předmětného správního řízení do 17. 6. 2025, případně do doby doručení odpovědi na výzvu, podle toho, která situace nastane dříve. Důvodem byla časová náročnost doložení všech požadovaných podkladů.

Dne 12. 5. 2025 Ústav usnesením č. j. sukl178745/2025 dle požadavku účastníka Pfizer předmětné správní řízení přerušil.

Dne 5. 6. 2025 Ústav pod č. j. sukl218423/2025 obdržel reakci žadatele na výše uvedenou výzvu k součinnosti, ve které doplňuje požadované farmakoeconomické podklady.

Ústav vzal podání na vědomí a blíže se k nim vyjadřuje v příslušných částech tohoto dokumentu.

Dne 6. 6. 2025 Ústav vyrozuměl účastníky řízení, že ode dne 5. 6. 2025 pokračuje v předmětném správním řízení.

Dne 16. 7. 2025 Ústav pod č. j. sukl283332/2025 vydal hodnotící zprávu (HZ), ve které po provedeném zhodnocení žádosti a na základě posouzení shromážděných důkazů navrhl nestanovit LP HYMPAVZI úhradu v předmětné indikaci, protože nebylo prokázáno, že LP HYMPAVZI splňuje podmínky účelné terapeutické intervence. Zároveň Ústav ukončil shromažďování podkladů pro rozhodnutí a o této skutečnosti informoval všechny účastníky řízení prostřednictvím sdělení č. j. sukl283335/2025 ze dne 16. 7. 2025. Současně byli účastníci informováni, že v souladu s ustanovením § 39g odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění jsou oprávněni vyjádřit se k podkladům pro rozhodnutí ve lhůtě 10 dnů ode dne doručení předmětného sdělení. V této lhůtě Ústav obdržel následující podání účastníka řízení.

Dne 17. 7. 2025 byla Ústavu pod č. j. sukl285588/2025 doručena žádost účastníka Pfizer o přerušení předmětného správního řízení, a to do 18. 8. 2025, případně do doby dodání důkazů (předložení podkladů pro rozhodnutí), podle toho, která situace nastane dříve. Důvodem je získání nových důkazů a jednání se zdravotními pojišťovnami o zajištění nákladové efektivity.

Dne 17. 7. 2025 Ústav usnesením č. j. sukl285801/2025 předmětné správní řízení dle požadavku žadatele přerušil.

Dne 18. 8. 2025 Ústav pod č. j. sukl330079/2025 obdržel opakovanou žádost účastníka Pfizer o přerušení předmětného správního řízení do 22. 9. 2025, případně do doby dodání důkazů, podle toho, která situace nastane dříve. Účastník Pfizer jako důvod uvedl opatření nových důkazů a dosažení dohody se zdravotními pojišťovnami o zajištění nákladové efektivity.

Dne 18. 8. 2025 Ústav usnesením č. j. sukl330296/2025 předmětné správní řízení dle požadavku žadatele přerušil.

Dne 18. 8. 2025 Ústav pod č. j. sukl330179/2025 obdržel podání účastníka VZP, ve kterém vyjadřuje nejistotu ohledně jednoznačného klinického přínosu LP HYMPAVZI a upozorňuje na limitace studie BASIS, zejména dobu sledování pacientů a nízký počet pacientů s hemofilií B a zahrnutí i pacientů s hemofilií A. Účastník VZP odkazuje na britskou agenturu NICE, která doporučila marstacimab pouze pro pacienty s těžkou formou hemofilie B. Účastník VZP zmiňuje i francouzskou agenturu HAS, která nedoporučila LP HYMPAVZI u populace pacientů s těžkou hemofilií A ani B.

K tomu Ústav uvádí, že pro účely průkazu účinnosti a bezpečnosti akceptoval design klinické studie BASIS, protože hodnocený přípravek je určen jak pro terapii HA, tak i HB, proto do klinické studie byla zahrnuta celá cílová populace. Závažná HA s incidencí 9,5 případů na 100 000 narozených chlapců je vzácné onemocnění, incidence závažné HB je ještě nižší 1,5 případů na 100 000 narozených chlapců, proto je pro Ústav akceptovatelné, že počet zahrnutých pacientů, i v případě HB, byl relativně nízký, ale je srovnatelný s počty pacientů v jiných klinických studiích týkajících se hemofilie (např. studie HAVEN 3 s emicizumabem)⁹. Délka sledování (12 měsíců) byla delší než doba sledování ve studii HAVEN 3 (24 týdnů). K hodnocení britskou agenturou NICE¹⁵ Ústav uvádí, že agentura sice identifikovala limitace klinické studie BASIS i nepřímého srovnání, ale hlavním důvodem pro nepřiznání úhrady pro pacienty s HA nebyly klinické důvody, ale neprokázání nákladové efektivity. V případě francouzské agentury HAS¹⁶ byly důvodem zamítnutí úhrady metodologické limitace klinické studie BASIS (otevřený design, intrapacientské srovnání, vyšší míra krvácení na vstupu do studie ve srovnání s klinickou praxí v Evropě, profylaktický režim v observační fázi nebyl v souladu s klinickou praxí v Evropě, interpretace výsledků), které neumožňují robustní posouzení vyššího přínosu hodnocené intervence oproti dostupným možnostem léčby a absence důkazů o přínosu na kvalitu života. Z hlediska bezpečnosti pak byly zmíněny nejistoty ohledně trombotického rizika s ohledem na omezenou velikost populace a délku trvání studie. Ústav si je vědom metodologických limitací klinické studie BASIS, zejména otevřeného designu, intrapacientského srovnání a odchylek od běžné klinické praxe, stejně jako omezené robustnosti výsledků nepřímého srovnání s emicizumabem. Tyto skutečnosti byly při hodnocení zohledněny a Ústav považuje dostupná data za dostatečně průkazná pro posouzení klinického přínosu hodnocené intervence. Studie prokazuje klinicky významné snížení krvácivých epizod, které je konzistentní s biologickým mechanismem účinku i s výsledky z jiných populací, a nepřímé srovnání potvrzuje trend srovnatelného či lepšího účinku vůči dostupné terapii. S ohledem na specifika vzácného onemocnění, omezené možnosti provedení rozsáhlých komparativních studií a přiměřeně řízené bezpečnostní nejistoty považuje Ústav akceptaci těchto výsledků za metodologicky odůvodněnou.

Dále se účastník VZP vyjadřuje k analýze dopadu na rozpočet a považuje celkové náklady na léčbu 1 pacienta za období 5 let ve výši 44 534 125 Kč, vzhledem k výše uvedeným nejistotám, za nepřiměřeně vysoké. Stanovení úhrady LP HYMPAVZI by představovalo více než několiknásobné navýšení nákladů vynakládaných na profylaktickou léčbu pacientů s hemofilií A i B. Účastník VZP však na základě uvedených skutečností a existujících nejistot konstatuje, že navrhovaná výše a podmínky úhrady LP HYMPAVZI nejsou v souladu s veřejným zájmem dle ustanovení § 17 odst. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

K tomu Ústav uvádí, že vzal výše uvedené podání účastníka VZP na vědomí. K části týkající se dopadu na rozpočet Ústav uvádí, že vyjádření účastníka VZP posoudil v souladu s rozhodnutím Ministerstva zdravotnictví č. j. MZDR 50688/2019-2/CAU, zn.: L71/2019 ze dne 9. 4. 2020, a č. j. MZDR 16698/2022-2/OLZP, zn.: L29/2022 ze dne 9. 6. 2022 (a rovněž na tato rozhodnutí navazujícími informacemi o požadavku na vyjádření zdravotních pojišťoven k výsledku hodnocení analýzy dopadu na rozpočet publikovanými na webových stránkách Ústavu: <https://sukl.gov.cz/ceny-a-uhrady-leciv/aktuality-pro-ucastniky/informace-k-prubehu-individualniho-spravniho-rizeni-o-uhrade-lp-pzlu-po-vydani-hodnotici-zpravy-vcetne-postupu-pri-predkladani-smluv-ovlivnujicich-nakladovou-efektivitu-a-dopad-na-rozpocet/>). Ústav vyžaduje vyjádření zdravotních pojišťoven ve lhůtě pro vyjádření se k podkladům pro rozhodnutí v případě, že stanovení (změna) úhrady léčivého přípravku s dopadem na rozpočet uvedeným v hodnotící zprávě není v souladu s veřejným zájmem dle ustanovení § 17 odst. 2 zákona o

veřejném zdravotním pojištění ve smyslu ohrožení fungování systému zdravotnictví a jeho stability. Dle rozhodnutí MZ č. j. MZDR 50688/2019-2/CAU, sp. zn.: L71/2019 mají být doložená vyjádření zdravotních pojišťoven k dopadu na rozpočet přezkoumatelná a podložená relevantními úvahami.

Ústav po důkladné úvaze uvádí, že vyjádření účastníka VZP nepovažuje za dostatečně odůvodněné a podložené, neboť nebylo podloženo konkrétními a relevantními úvahami vztahujícími se k dopadu na rozpočet odhadovanému v předmětném správním řízení. Ve svém vyjádření účastník VZP nedoložil rozpor s veřejným zájmem, který by byl podložen podrobnou konkrétní a věcnou úvahou v podobě porovnání celkového dopadu na rozpočet, tj. predikovaného navýšení celkových nákladů, s aktuálně vynakládanými prostředky na terapii daného onemocnění z prostředků veřejného zdravotního pojištění a konfrontaci celkového dopadu na rozpočet (navýšení nákladů) s unikátními daty účastníka VZP.

Ústav proto na základě vyjádření účastníka VZP konstatuje, že stanovení výše a podmínek úhrady přípravku HYMPAVZI Ústav nepovažuje za rozporné s veřejným zájmem dle ustanovení § 17 odst. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Dne 16. 9. 2025 Ústav pod č. j. sukl373352/2025 (duplicitně č. j. sukl373360/2025) obdržel v pořadí již čtvrtou žádost účastníka Pfizer o přerušení předmětného správního řízení za účelem opatření nových důkazů a dosažení dohody se zdravotními pojišťovnami o zajištění nákladové efektivity, a to do 23. 10. 2025, případně do doby dodání důkazů, podle toho, která situace nastane dříve.

Dne 18. 9. 2025 Ústav usnesením č. j. sukl375792/2025 předmětné správní řízení dle požadavku žadatele přerušil.

Dne 14. 10. 2025 Ústav pod č. j. sukl420459/2025 obdržel podání účastníka Pfizer, ve kterém doplnil ekonomické analýzy (CMA a BIA) s návrhem důvěrné výše úhrady pro hodnocený přípravek. Zároveň požádal Ústav o zhodnocení předložených podkladů a ukončení přerušení předmětného správního řízení. Část podání byla do spisu založena v režimu obchodního tajemství.

Ústav vzal podání na vědomí a blíže se k němu vyjadřuje v části „Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet“.

Dne 16. 10. 2025 Ústav vyrozuměl účastníky řízení, že ode dne 14. 10. 2025 pokračuje v předmětném správním řízení.

Dne 21. 11. 2025 Ústav pod č. j. sukl485585/2025 obdržel podání žadatele, ve kterém požádal o zhodnocení předložených podkladů a vydání druhé hodnotící zprávy. Žadatel uvádí, že přehodnocení Ústavem je nutné pro stanovení nákladové efektivity a dopadu do rozpočtu LP HYMPAVZI.

Ústav vzal podání na vědomí a přistoupil k vydání další hodnotící zprávy.

Dne 26. 11. 2025 Ústav pod č. j. sukl490071/2025 vydal druhou hodnotící zprávu (2.HZ), ve které konstatoval, že byl prokázán klinický přínos léčby LP HYMPAVZI v indikaci rutinní profylaxe krvácivých příhod u pacientů ve věku 12 let a starších s těžkou HA a HB, avšak navrhl LP HYMPAVZI v posuzované indikaci úhradu nepřiznat, neboť jeho použití nesplňuje podmínku účelné terapeutické intervence. Zároveň Ústav ukončil shromažďování podkladů pro rozhodnutí a o této skutečnosti informoval všechny účastníky řízení prostřednictvím sdělení č. j. sukl490078/2025 ze dne 26. 11. 2025. Současně byli účastníci informováni, že v souladu s ustanovením § 39g odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění jsou oprávněni vyjádřit se k podkladům pro rozhodnutí ve lhůtě 10 dnů ode dne doručení předmětného sdělení. V této lhůtě Ústav obdržel následující podání účastníka řízení.

Dne 28. 11. 2025 byla Ústavu pod č. j. sukl495452/2025 doručena žádost účastníka Pfizer o přerušení předmětného správního řízení za účelem uzavření smluvních ujednání se zdravotními pojišťovnami, a to do 23. 12. 2025, případně do doby dodání důkazů, podle toho, která situace nastane dříve.

Dne 1. 12. 2025 Ústav usnesením č. j. sukl497692/2025 předmětné správní řízení dle požadavku žadatele přerušil.

Dne 19. 12. 2025 Ústav obdržel podání účastníka Pfizer č. j. sukl533148/2025, v němž doložil předmětná smluvní ujednání se zdravotními pojišťovnami zajišťující akceptovatelný dopad na rozpočet v návaznosti na závěry 2.HZ. Zároveň požádal Ústav, aby na základě uvedených skutečností pokračoval v předmětném správním řízení a přistoupil k vydání nové hodnotící zprávy.

Dne 22. 12. 2025 Ústav pod č. j. sukl533474/2025 obdržel podání účastníka VZP, ve kterém potvrdil uzavření smluvního ujednání umožňujícího považovat LP HYMPAVZI na nákladově efektivní intervenci.

Ústav vzal výše uvedená podání na vědomí a zohlednil je v části „Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet“.

Dne 22. 12. 2025 Ústav vyrozuměl účastníky řízení, že ode dne 19. 12. 2025 pokračuje v předmětném správním řízení.

Dne 14. 1. 2026 Ústav pod č. j. sukl22378/2026 obdržel podání žadatele, ve kterém žádá o brzké vydání nové hodnotící zprávy s ohledem na doložená smluvní ujednání.

Ústav vzal vyjádření na vědomí a přistoupil k vydání další hodnotící zprávy.

Dne 10. 2. 2026 Ústav pod č. j. sukl65134/2026 obdržel podání žadatele, ve kterém předložil prohlášení svého zástupce o nepřítomnosti LP HYMPAVZI na chorvatském trhu a požádal o vyloučení této ceny z aktualizovaných cenových referencí.

Ústav uvádí, že důkazy navržené žadatelem posoudil v souladu s ustanovením § 50 odst. 4 správního řádu.

K tomu Ústav uvádí, že účastníkem Pfizer předložené potvrzení o nepřítomnosti LP HYMPAVZI 150MG INJ SOL PEP 1X1ML na chorvatském trhu má charakter čestného prohlášení, které bez dalšího dostatečně neprokazuje nepřítomnost léčivého přípravku na trhu. Pro prokázání nepřítomnosti léčivého přípravku na trhu je nutno předložit Ústavu průkazný doklad o neobchodování léčivého přípravku v dané zemi, např. doložením výpisu z databáze IQVIA, potvrzení místní autority, případně potvrzení distributora. Vzhledem k tomu, že účastník Pfizer takové důkazy nepředložil, vyhodnotil Ústav předložené potvrzení jako neprůkazné.

Dne 16. 2. 2026 Ústav vložil do spisu pod č. j. sukl74456/2026 aktualizované cenové reference pro stanovení maximální ceny a výše úhrady.

Dne 25. 2. 2026 Ústav vydal třetí hodnotící zprávu (3.HZ), č. j. sukl90516/2026, ve které po provedeném zhodnocení žádosti a na základě posouzení shromážděných důkazů navrhl stanovit posuzovanému LP HYMPAVZI maximální cenu a výši a podmínky úhrady. Zároveň Ústav ukončil shromažďování podkladů pro rozhodnutí a o této skutečnosti informoval všechny účastníky řízení prostřednictvím sdělení o ukončení zjišťování podkladů, č. j. sukl90528/2026, ze dne 25. 2. 2026. Současně byli účastníci řízení informováni, že v souladu s ustanovením § 39g odst. 5 zákona o

veřejném zdravotním pojištění jsou oprávněni vyjádřit se k podkladům pro rozhodnutí ve lhůtě 10 dnů ode dne doručení předmětného sdělení.

Ústav obdržel následující podání účastníků řízení:

Dne 25. 2. 2025 Ústav pod č. j. sukl92330/2026 obdržel podání žadatele, který se vzdává svého práva na vyjádření se ke 3.HZ.

Dne 26. 2. 2025 Ústav pod č. j. sukl92877/2026 obdržel podání účastníka Svaz, ve kterém se vzdává svého práva na vyjádření se ke 3.HZ.

Dne 27. 2. 2026 Ústav pod č. j. sukl95162/2026 obdržel podání účastníka VZP, ve kterém se vzdává svého práva na vyjádření se ke 3.HZ.

Ústav vzal výše uvedená podání účastníků řízení na vědomí a přistoupil k vydání rozhodnutí ve věci.

Ústav shromáždil pro rozhodnutí zejména tyto podklady:

1. SmPC HYMPAVZI. SÚKL: Databáze registrovaných léčivých přípravků, SLP a PZLÚ [7.4.2025]. Dostupné z: https://prehledy.sukl.cz/prehled_leciv.html#/.
2. Smejkal, P. *et al.* Consensual guidelines of the Czech National Haemophilia Programme (CNHP) for the diagnosis and treatment of patients with haemophilia, 3rd edition, year 2021. *Transfuzie Hematol Dnes* **27**, 73–90 (2021).
3. Srivastava, A. *et al.* WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. *Haemophilia* **26**, 1–158 (2020).
4. Rozhodnutí ve správním řízení o změně výše a podmínek úhrady LP HEMLIBRA vedeném pod sp. zn. SUKLS93568/2020 ze dne 5. 11. 2020, které nabylo právní moci dne 10. 11. 2020.
5. Rozhodnutí ve správním řízení o změně výše a podmínek úhrady HEMLIBRA vedeném pod sp. zn. SUKLS128643/2019 ze dne 30.3.2020, které nabylo právní moci dne 5.4.2020.
6. SmPC LP. SÚKL: Databáze registrovaných léčivých přípravků, SLP a PZLÚ [9. 10. 2025]. Dostupné z: https://prehledy.sukl.cz/prehled_leciv.html#/.
7. Thornburg, C. D. The benefits of gene therapy in people with haemophilia. *Journal of Viral Hepatitis* **31**, 4–8 (2024).
8. SmPC BEQVEZ. Dostupné z: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/beqvez>.
9. European Medicines Agency. Assessment report, HYMPAVZI. EMA/2024. [8. 7. 2025] Dostupné z: https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/hympavzi-epar-public-assessment-report_en.pdf.
10. Mahlangu, J. *et al.* Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors. *N Engl J Med* **379**, 811–822 (2018).
11. WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology. Complete ATC index. Marstacimab. [8. 7. 2025]. Dostupné z: https://atcddd.fhi.no/atc_ddd_index/.
12. Alam AU, Karkhaneh M, Attia T, et al. All-cause mortality and causes of death in persons with haemophilia: a systematic review and meta-analysis. *Haemophilia* 2021;27:897-910.
13. Hassan S, Monahan RC, Mauser-Bunschoten EP, et al. Mortality, life expectancy, and causes of death of persons with hemophilia in the Netherlands 2001–2018. *Journal of Thrombosis and Haemostasis* 2021;19:645-653.
14. ČNHP Výstupy z registru ČNHP za rok 2023: hemofilie. <https://www.cnhp.cz/cs/registr/vystupy-z-registru/hemofilie2023/>.
15. Marstacimab for treating severe haemophilia A or B in people 12 years and over without anti-factor antibodies.

16. HAS France, HYMPAVZI 150 mg, solution injectable en stylo prérempli Inscription Adopté par la Commission de la transparence le 14 mai 2025, dostupné z: https://www.has-sante.fr/jcms/p_3597514/fr/hympavzi-marstacimab.
17. Cenové reference a další podklady pro stanovení výše maximální ceny a výše úhrady založené do spisu dne 16. 2. 2026 pod č.j. sukl74456/2026

Ústav vzal v úvahu všechny skutečnosti shromážděné v průběhu správního řízení, a to:

HODNOCENÍ KLINICKÉHO PŘÍNOSU

Charakteristika léčivého přípravku

Marstacimab (MAR) je humánní monoklonální protilátka IgG1 namířená proti Kunitzově doméně 2 (K2) inhibitoru dráhy tkáňového faktoru (TFPI), primárního inhibitoru vnější dráhy koagulační kaskády. TFPI se iniciálně váže na aktivní místo faktoru Xa a inhibuje jej prostřednictvím své druhé K2, tím dochází k neutralizaci inhibiční aktivity TFPI a k posílení funkce vnější koagulační dráhy a obejití deficitů vnitřní dráhy koagulace zvýšením volného aktivovaného faktoru Xa dostupného ke zvýšení tvorby trombinu a podpoře hemostázy. Cílem tohoto mechanismu účinku je opětovné nastavení rovnováhy v hemostáze¹.

Indikace a cílová populace posuzované v tomto správním řízení

V tomto správním řízení je žádáno o stanovení úhrady v indikaci k rutinní profylaxi krvácivých příhod u pacientů ve věku 12 let a starších, vážících alespoň 35 kg, s:

- těžkou hemofilií A (HA, vrozený nedostatek faktoru VIII, FVIII < 1 %) bez inhibitorů FVIII
- nebo
- těžkou hemofilií B (HB, vrozený nedostatek faktoru IX, FIX < 1 %) bez inhibitorů FIX.

Posuzovaná indikace je v souladu s registrovanou indikací LP HYMPAVZI dle SmPC.¹

Postavení posuzovaného léčivého přípravku v klinické praxi

Charakteristika onemocnění

Hemofilie A (HA) a hemofilie B (HB) jsou vzácné dědičné gonosomálně recesivně podmíněné onemocnění vázané na chromosom X, vedoucí k absenci nebo nedostatku koagulačního faktoru VIII (FVIII, HA) resp. faktoru IX (FIX, HB). HA je častější než HB, HA tvoří 80–85 % hemofilické populace. Incidence HA je udávána 246 případů a pro HB 50 případů na milion u mužské populace.^{2,3}

Pacienti jsou ohroženi častým krvácením. Přibližně 90 % krvácivých epizod u hemofiliků představuje krvácení do kloubů či svalů. Následkem může být rozvoj těžké hemofilické artropatie vedoucí k omezení hybnosti a invaliditě. Po ztrátě chrupavky nastupuje destrukce kosti se vznikem subchondrálních cyst a osteofytů, postupně dochází k fibrotizaci kloubu až k jeho ankylóze. Současně se prohlubuje svalová atrofie, vznikají kontraktury a deviace kloubní osy. Další obávanou komplikací je rozvoj inhibitoru – neutralizujících protilátek jako reakce na substituční léčbu koagulačními faktory.^{2,3}

Dle tíže defektu FVIII se u HA dělí na²:

- **Těžkou formu** (<1 % FVIII) – projevující se spontánními krvácivými projevy, do kloubů více než 1x měsíčně, do svalů přibližně 2x ročně, frekvence krvácivých epizod je značně individuální, od krvácení více než 1x týdně až po jen ojedinělé projevy 1–2x ročně. (hodnocená populace)
- **Středně těžkou formu** (1–5 % FVIII) - krvácení do kloubů a svalů i po malých úrazech
- **Lehkou formu** (5–40 % FVIII) - krvácení při chirurgickém či stomatologickém zákroku, po úrazech

Postavení přípravku v managementu léčby

HA i HB je v současné době léčeny formou substituční (FVIII, resp. FIX) a nesubstituční (nefaktorová léčba pouze u HA). **Substituční léčba spočívá v podávání chybějícího FVIII, resp. FIX k dosažení hemostaticky dostatečné hladiny. Profylaxe je indikovaná u těžkých hemofiliků (případně u pacientů s vyšší hladinou FVIII, resp. FIX, pokud je spojena s fenotypovými projevy těžké hemofilie).** Cílem profylaxe je trvale udržet hladiny faktorů minimálně nad 1 %, ideálně nad 2 %. Tyto hladiny FVIII však dostatečně **nechrání před spontánním krvácením a nezabrání rozvoji hemofilické artropatie v celoživotním horizontu. Při trvalé hladině nad 15 % je spontánní krvácení vyjímečné**³.

Aktualizována doporučení WFH (World Federation of Hemophilia) již upřednostňují hladiny v rozmezí 3 % až 5 % nebo vyšší, ani tyto hladiny však nejsou dostatečné k ochraně pacientů před všemi krváceními a následnou morbiditou (např. poškozením kloubů).³

Režimy profylaxe²:

- primární profylaxe – profylaktická aplikace koncentráту FVIII započatá nejpozději po první klinicky významné krvácivé epizodě nebo do ukončení druhého roku života
- sekundární profylaxe – profylaxe započatá později než primární
- terciární profylaxe – profylaxe aplikovaná u jedinců s již existujícím kloubním postižením
- krátkodobá profylaxe – dle klinického stavu se přechodně (v době nepřesahující 45 týdnů v roce) zavádí po operaci, úrazu, při rehabilitaci apod.

Typy koagulačních faktorů²:

- Plazmatické FVIII, resp. FIX - vysoce čištěné a dvojité protivirově ošetřené koncentráty FVIII/IX s vysokým stupněm bezpečnosti, aplikovány každý druhý až třetí den.
- Rekombinantní FVIII, resp. FIX – upřednostňovány u dosud neléčených a minimálně léčených hemofiliků. Tyto koncentráty mohou mít buď standardní plazmatický poločas cca 12 hod (s dávkováním 3 – 4x týdně) nebo prodloužený poločas (EHL – extended half-life factors) 57–96 hod s dávkováním jednou za 3 až 5 dnů.

Problémem terapie HA i HB je celoživotní poměrně častá aplikace injekcí v rámci substituční faktorové léčby, které mohou vést k poškození žil, což je následně spojeno s bolestí při aplikaci a zvyšuje se pravděpodobnost „kolapsu žil“. Frekvence injekcí je zatěžující zejména u starších pacientů a malých dětí, které mají často špatný žilní přístup. Tyto skutečnosti mohou snížit adherenci k profylaktické substituční faktorové terapii a případně ji až znemožnit, což vede ke špatné kontrole krvácení. Malé děti často potřebují chirurgickou implantaci centrálního žilního katetru, což je spojeno s rizikem infekce².

Nefaktorová léčba v případě HA je reprezentována **emicizumabem** (LP HEMLIBRA). Jedná se o rekombinantní, humanizovanou, bispecifickou, imunoglobulinovou monoklonální G4 protilátku, která přemostuje aktivovaný faktor IX a faktor X, a tím nahrazuje funkci chybějícího aktivovaného faktoru VIII potřebného k efektivní hemostáze. Výhodou je subkutánní aplikace a prodloužený poločas s frekvencí dávkování v závislosti na podané dávce 1x za týden, 1x za 14 dní nebo 1x měsíčně. Doporučené dávkování emicizumabu bylo zvoleno tak, aby koagulační potenciál při plazmatické hladině emicizumabu 30–50 µg/ml odpovídal aktivitě FVIII přibližně 10–15 %. V podmínkách české klinické praxe je emicizumab hrazen pouze v rámci profylaxe, ne pro léčbu krvácení^{4,5}. Profylaxe emicizumabem nemůže být použita samostatně ke zvládnutí krvácení a doplňková léčba FVIII je nadále indikována v situacích, jako jsou průlomová krvácení, chirurgické zákroky a některé fyzické aktivity⁶.

V rámci klinických studií je dostupná genová terapie HA pomocí valoctocogenu roxaparvec. V klinické studii bylo během dvouletého sledování po aplikaci dosaženo hladin FVIII v rozmezí 5 – 50 IU/dl^{2,7}.

Pro léčbu HB byla EMA registrována genová terapie pomocí fidanacogenu elaparvec (LP DURVEQTIX, nově BEQVEZ). Registrovanou indikací byla léčba těžké a středně těžké HB u dospělých pacientů bez inhibitorů faktoru IX v anamnéze a bez detekovatelných protilátek proti variantě AAV sérotypu Rh74 (v květnu 2025 registrace v EU zrušena)⁸.

MAR představuje nový koncept nefaktorové léčby HA a HB, alternativu k substituční faktorové terapii HA a HB nebo v případě HA i alternativu k nefaktorové terapii emicizumabem. Přínosná může být zvláště pro pacientů s HB, kteří zatím neměli k dispozici žádnou nefaktorovou subkutánní terapii. Odborná veřejnost podporuje zavedení MAR do klinické praxe, protože jednotným dávkováním (i s možnou úpravou), aplikací 1x týdně subkutánně může přispět ke zlepšení kvality života pacientů s hemofilii (předloženo v režimu obchodního tajemství, Advisory board report).

Identifikace relevantních komparátorů

Relevantními komparátory v posuzované indikaci jsou:

- **substituční koagulační faktory VIII, resp. IX** (plazmatické a rekombinantní se standardním nebo prodlouženým poločasem)
- **emicizumab** pouze v rámci profylaxe krvácivých stavů u HA

Hodnocení účinnosti a bezpečnosti posuzovaného léčivého přípravku

Komparativní účinnost a bezpečnost

Klinická studie BASIS⁹ je probíhající, jednoramenná, cross-over, otevřená, multicentrická studie fáze 3 hodnotící účinnost a bezpečnost MAR u pacientů s HA a HB.

Populace: adolescenti ve věku 12 (n=20) až dospělí <75 let (n=108) s těžkou HA (n=101) nebo středně těžkou až těžkou HB (n=27) definovanou jako aktivita FVIII <1 %, resp. aktivita FIX ≤2 % bez průkazu inhibitoru (78,4 % hemofilie A, 21,6 % hemofilie B). Prezentované průběžné výsledky se týkají pouze kohorty bez inhibitoru s předchozí profylaktickou léčbou (substituční léčba FVIII nebo FIX).

Intervence: 300 mg MAR subkutánně (SC) jako úvodní zaváděcí dávka, následně 150 mg SC jednou týdně. Zvýšení dávky na 300 mg MAR jednou týdně bylo povoleno po 6 měsících aktivní léčby (den 180) u pacientů s tělesnou hmotností ≥ 50 kg, u kterých došlo ke 2 nebo více průlomovým krvácením vyžadujících léčbu koagulačními faktory VIII/IX, přičemž byla prokázána nepřítomnost inhibitorů. Délka trvání studie u jednotlivého pacienta byla přibližně 21 měsíců, což zahrnovalo přibližně 45denní screeningové období, 6měsíční observační období (observational phase, OP), 12měsíční období léčby MAR (ATP, active treatment phase) a 1měsíční sledování za účelem sledování bezpečnosti.

Primární cíl: roční četnost krvácení - ABR (annualised bleeding rate, léčená krvácení), průkaz non-inferiority MAR během 12měsíční profylaktické léčby ve srovnání s rutinní profylaxí během 6měsíční OP, vyjádřeno prostřednictvím rozdílu ABR. Non-inferiorita bude potvrzena, pokud oboustranný 95 % interval spolehlivosti odhadovaného rozdílu ABR (MAR profylaxe - předchozí profylaxe) bude nižší než 2,5. Pokud byla prokázána non-inferiorita, byla následně testována superiorita. Pro pacienty s předchozí on demand léčbou (tzn. léčba pouze v případě potřeby) bylo cílem prokázat superioritu pro léčená krvácení.

Sekundární cíle: incidence kloubního krvácení, spontánního, krvácení do cílových kloubů, incidence všech krvácení, hodnocení zdraví kloubů - Haemophilia Joint Health Score (HJHS), kvalita života (specifické dotazníky pro hemofilii).

V kohortě rutinní profylaxe mělo 56,6 % pacientů při vstupu do studie jeden nebo více cílových kloubů a 15,7 % mělo při vstupu do studie 3 nebo více cílových kloubů.

Výsledky:

Ústav dále prezentuje výsledky pouze pro populaci pacientů s předcházející profylaxí.

Profylaxe MAR prokázala non-inferioritu a superioritu oproti předchozí profylaktické léčbě v primárním parametru ABR. Profylaxe MAR rovněž prokázala superioritu nad on-demand léčbou dle ABR léčených krvácení. Nicméně pro všechny sledované sekundární parametry byla prokázána pro MAR oproti předchozí profylaktické léčbě non-inferiorita.

Tab. Výsledky pro primární cíl (léčená krvácení) a sekundární cíle u pacientů s předcházející profylaxí:

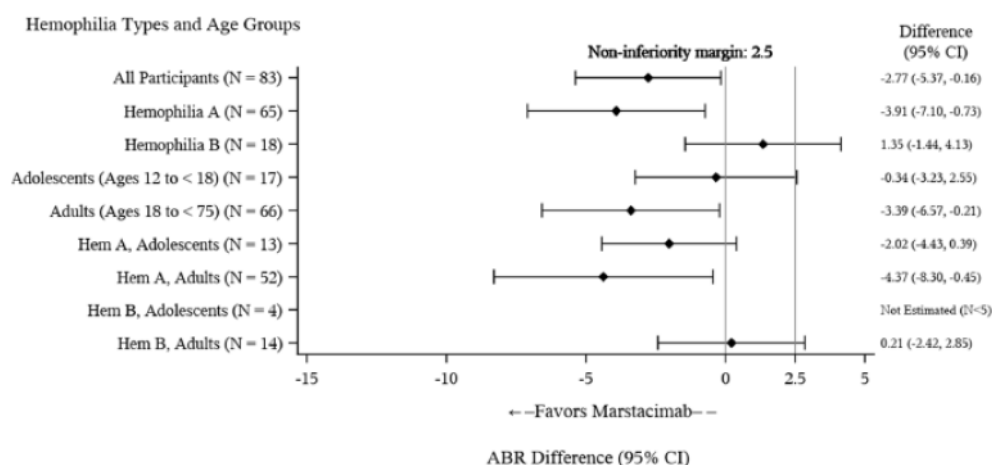
Cílové parametry v pořadí hierarchie testování	Rutinní profylaxe koagulačními faktory během 6měsíční OP (n = 83)	Profylaxe přípravkem Hymovaxi během 12měsíční ATP (n = 83)
Léčená krvácení (primární)		
ABR, založené na modelu (95% CI)	7,85 (5,09; 10,61)	5,08 (3,40; 6,77)
Rozdíl oproti RP (95% CI)	-2,77 (-5,37; -0,16) p-hodnota = 0,0376*	
Účastníci s 0 krváceními, n (%)	33 (39,8)	29 (34,9)
Spontánní krvácení, léčená		
ABR, založené na modelu (95% CI)	5,86 (3,54; 8,19)	3,78 (2,25; 5,31)
Rozdíl oproti RP (95% CI)	-2,09 (-4,23; 0,06) Noninferiorita*	
Krvácení do kloubu, léčená		
ABR, založené na modelu (95% CI)	5,66 (3,33; 7,98)	4,13 (2,59; 5,67)
Rozdíl oproti RP (95% CI)	-1,53 (-3,70; 0,64) Noninferiorita*	
Celková krvácení, léčená a neléčená		
ABR, založené na modelu (95% CI)	8,84 (5,97; 11,72)	5,97 (4,13; 7,81)
Rozdíl oproti RP (95% CI)	-2,87 (-5,61; -0,12) Noninferiorita*	
Krvácení do cílového kloubu, léčená		
ABR, založené na modelu (95% CI)	3,36 (1,59; 5,14)	2,51 (1,25; 3,76)
Rozdíl oproti RP (95% CI)	-0,86 (-2,41; 0,70) Noninferiorita*	

*Kritérium

splněno (noninferiorita/p-hodnota, pokud je splněna superiorita)

U 11 pacientů došlo v souladu s protokolem studie k navýšení dávky na 300 mg. Jejich ABR před změnou dávky bylo 14,03 a po změně dávky kleslo na 3,42.

Obr. Analýza podskupin:



Výsledky pro podskupinu pacientů s HA a předcházející profylaxí

Dle analýzy podskupin byl u pacientů s HA rozdíl v primárním parametru ABR superiorní (viz. obrázek výše) ve prospěch MAR.

Průměr ABR léčených krvácení byl 5,30 při profylaxi MAR během ATP vs. průměrné ABR 9,16 u předchozí rutinní profylaxe během OP. Z 65 pacientů byla dávka u 5 pacientů zvýšena na 300 mg a následně u 4 z nich došlo ke snížení ABR a u 1 zůstalo zvýšené ABR po zvýšení dávky zachováno. Průměrná hodnota ABR u všech 65 pacientů s HA včetně údajů po zvýšení dávky byla 4,95.

Výsledky pro podskupinu pacientů s HB a předcházející profylaxí

Dle analýzy podskupin byl u pacientů s HB rozdíl ABR non-inferiorní (viz. obrázek výše), horní hranice CI pro rozdíl ABR přesáhl hranici pro non-inferioritu 2,5.

Průměr ABR léčených krvácení u pacientů s HB byl 4,71 při profylaxi MAR během ATP ve srovnání s průměrným ABR 3,26 pro rutinní profylaxi během OP. Z 18 pacientů s HB u 6 pacientů byla dávka zvýšena a u všech došlo po zvýšení dávky ke snížení ABR. Průměrná hodnota ABR u všech 18 pacientů HB včetně údajů po zvýšení dávky byla 3,88, což ukazuje na podobnou kontrolu krvácení ve srovnání s předcházející profylaxí.

Výsledky pro subpopulaci dospívajících pacientů (HA i HB) a předcházející profylaxí

Pro subpopulaci dospívajících pacientů (N=17) horní hranice CI pro rozdíl ABR přesáhl hranici pro non-inferioritu 2,5, a výsledky pro tuto podskupinu lze proto vyhodnotit pouze jako non-inferiorní.

Průměr ABR léčených krvácení u dospívajících pacientů byl 2,98 pro profylaxi MAR během ATP ve srovnání s průměrným ABR 3,30 pro rutinní profylaxi během OP.

Dlouhodobá účinnost a bezpečnost MAR je sledována v prodloužené fázi studie BASIS - **B7841007**⁹. Jedná se o probíhající, otevřenou, dlouhodobou studii (plánované dokončení 2030) podávání MAR v rámci profylaxe a sledující bezpečnost jako primární cíl a v rámci sekundárních cílů stejné cíle jako v primární studii BASIS. Výsledky zahrnují období až 16 měsíců léčby po ukončení původní studie. Pro účely průběžného hodnocení v březnu 2023 byla k dispozici data od 87 pacientů (67 s HA, 20 s HB), přičemž průměr ABR stále klesá.

Obr. Výsledky ABR pro MAR během ATP fáze a prodloužené fáze

Cílový parametr	Časový interval		
	Prvních 6 měsíců ATP (n = 116)	Druhých 6 měsíců ATP (n = 112)	B7841007* (n = 87)
Léčená krvácení			
Průměr ABR (95% CI)	4,95 (3,67; 6,68)	3,25 (2,38; 4,42)	2,79 (1,90; 4,09)
Medián ABR (IQR)	2,00 (0,00; 5,99)	1,91 (0,00; 4,09)	0,00 (0,00; 4,10)

*Pacientům byl podáván marstacimab až dalších 16 měsíců (průměrně 7 měsíců) během studie B7841007.

ABR (léčená krvácení) pro celou populaci byly při profylaxi MAR 2,79 (95 % CI 1,90-4,09). Rovněž výsledky pro další sledované typy krvácení ukazují během prodloužené fáze trend ke snižování hodnot a zachování zdraví kloubů (HJHS, Haemophilia Joint Health Score). Průměrná změna celkového skóre HJHS oproti výchozí hodnotě po 180 dnech byla -1,0 u celkové populace (n = 43 s hodnotami hlášenými po 180 dnech). U skupiny s předchozí on demand léčbou (n = 19) a u skupiny s předchozí profylaktickou léčbou (n = 24) byla průměrná změna oproti výchozím hodnotám v celkovém skóre HJHS po 180 dnech 1,1, respektive -2,7.

Tab. pro výsledky dalších typů sledovaných krvácení během prodloužené fáze pro profylaxi MAR:

ABR průměrné (95% CI)	On demand	Rutinní profylaxe	Celkem
Kloubní krvácení (léčené)	1,87 (1,07-3,26)	1,87 (1,14-3,08)	1,88 (1,29-2,74)
Spontánní krvácení (léčené)	2,54 /1,22-5,29)	1,62 (0,96-2,73)	1,91 (1,26-2,89)
Krvácení do cílového kloubu (léčené)	0,90 (0,51-1,58)	0,91 (0,36-2,27)	0,94 (0,54-1,63)
Všechna krvácení léčená i neléčená	5,10 (3,25-8,00)	2,73 (1,70-4,38)	3,59 (2,56-5,04)
Změna HJHS v den 180	1,1	-2,7	-1,0

Bezpečnost:

Bezpečnostní profil sdružuje data ze studie BASIS a průběžná data z fáze OLE. Nejčastějšími nežádoucími účinky (NÚ) souvisejícími s léčbou byly reakce v místě vpichu a tvorba protilátek. Protilátky a neutralizační protilátky však byly zjištěny pouze v nízkém titru a u většiny pacientů pouze přechodně a neovlivnily celkový bezpečnostní profil. Nebyly zjištěny žádné tromboembolické události nebo reakce hypersenzitivity nebo anafylaktické reakce.

Odstranění inhibice TFPI může zvýšit koagulační potenciál pacienta a přispět k individuálnímu, multifaktoriálnímu riziku tromboembolických příhod u některých pacientů (např. s anamnézou onemocnění koronárních tepen, žilní nebo arteriální trombózy, s akutním závažným onemocněním se zvýšenou expresí tkáňového faktoru – závažné infekce, sepse, nádorová onemocnění). U těchto skupin pacientů je nutné zvážit poměr přínosu a rizika.

Nejčastějšími NÚ byly infekce COVID-19 bolest hlavy a hypertenze. Profil NÚ byl obdobný v populaci s HA, HB i u pacientů s navýšením dávky.

Závažné NÚ se vyskytly u 2 pacientů během OP a 7 pacientů během ATP. Pouze u 1 pacienta (v rameni rutinní profylaxe) došlo během ATP k předčasnému ukončení terapie z důvodu NÚ, přičemž se jednalo o meningeom bez souvislosti s léčbou. V OLE se vyskytly závažné NÚ u 2 zařazených (nejvýše stupně 3 závažnosti), které však nebyly ve vztahu s podávanou léčbou.

Během sledovaného období nebylo zjištěno žádné úmrtí.

Závěr Ústavu k účinnosti a bezpečnosti MAR

Při týdenní profylaxi MAR byla prokázána non-inferiorita a statistická superiorita při hodnocení ABR léčených krvácení ve srovnání s předcházející profylaktickou i on-demand léčbou v celé studijní populaci (pacienti s HA i HB). Celkově se jednalo o populaci se závažnými formami hemofilie, s vysokou vstupní hodnotou ABR a vysokou mírou postižení kloubů, kteří obecně hůře reagují na léčbu. Výsledky primárního sledovaného cíle byly podpořeny výsledky pro sekundární cílové ukazatele týkající se výskytu různých typů krvácení a hodnocením zdraví kloubů, které prokázaly non-inferioritu oproti předcházející profylaxi a superioritu oproti on-demand léčbě.

Signifikace pro celkovou populaci však převážně vychází z výsledků dominantní podskupiny pacientů s HA (77 %). Pro podskupinu pacientů s HB, která je limitována velmi nízkým počtem hodnocených pacientů (23 %), superiorita ve srovnání s předcházející profylaxí potvrzena nebyla. **Na základě průkazu non-inferiority vůči substitučním faktorům IX v podkladové studii, Ústav pro populaci pacientů s HB akceptuje srovnatelnou účinnost a bezpečnost i s přihlédnutím k omezeným možnostem léčby HB (zatím není k dispozici nefaktorové možnosti léčby HB a subkutánní aplikace).**

Významným benefitem je možnost aplikace 1x týdně.

Profil účinnosti a bezpečnosti při stejném režimu dávkování v rámci profylaxe u populace adolescentů je problematické hodnotit kvůli nízkému počtu zařazených pacientů.

Bezpečnostní profil MAR hodnocené celkové populace byl akceptovatelný, bez zvýšené míry závažných nežádoucích účinků se vztahem k léčbě (anafylaktická reakce, trombotické události, závažné alergické reakce).

Průběžná data z dlouhodobého sledování dokládají zlepšující se účinek na prevenci krvácení i dobrý bezpečnostní profil.

Ústav závěrem konstatuje, že v horizontu podkladové klinické studie u adolescentů a dospělých pacientů s těžkou HA, akceptuje superiorní účinnost MAR u pacientů s HA a předcházející profylaxi oproti profylaxi substitučními FVIII v primárním parametru ABR, non-inferioritu v sekundárních parametrech.

Pro účely farmakoekonomického hodnocení žadatel uvažuje srovnatelnou účinnosti MAR i oproti substituční FVIII. Jedná se o konzervativní předpoklad s ohledem na malou robustnost pro hodnocení superiority v kohortě s předchozí profylaxí (ne pro všechny subpopulace ne všechny výsledky byly statisticky signifikantní) a Ústav tento přístup akceptuje.

Komparativní účinnost - nepřímé srovnání

S ohledem na to, že nejsou k dispozici klinické studie přímo srovnávající účinnost a bezpečnost MAR oproti relevantnímu komparátoru emicizumabu v případě pacientů s HA, předložil žadatel v režimu obchodního tajemství data z nepřímého srovnání formou neukotveného nepřímého srovnání metodou STC („simulated treatment comparison“) za použití individuálních dat ze studie BASIS⁹ a agregovaných dat ze studie HAVEN-3¹⁰ pro emicizumab. Analýza zahrnuje pouze pacienty se závažnou HA s předcházející profylaxí.

Klinická studie HAVEN¹⁰ byla randomizovanou, multicentrickou, otevřenou klinickou studií fáze 3 se 152 pacienty s těžkou HA (ve věku ≥ 12 let a tělesnou hmotností > 40 kg) bez inhibitorů FVIII po předchozí „on demand“ nebo profylaktické léčbě. Pacienti na předchozí epizodické léčbě byli randomizováni do tří skupin v poměru 2:2:1. Emicizumab byl aplikován subkutánně v úvodní dávce 3,0 mg/kg 1x týdně (první 4 dávky) a následně ve dvou dávkovacích režimech – 1,5 mg/kg 1x týdně (skupina A, n=36) nebo 3,0 mg/kg 1x za 2 týdny (skupina B, n=35). Skupina C byla bez profylaxe, n=18 (pacienti pokračovali v epizodické léčbě určeným FVIII). Pacienti na předchozí profylaktické léčbě (skupina D, n=63) dostávali udržovací dávku 1,5 mg/kg 1x týdně. Primární analýza výsledků byla provedena po 24 týdnech.

Primární cíl: ABR pro všechna krvácení.

Pro účely nepřímého srovnání byla použita agregovaná data pacientů s předchozí profylaxí z ramene D studie HAVEN a IPD data pacientů z profylaktického ramene studie BASIS.

Výsledky neukotveného ITC naznačují, že účinnost MAR je srovnatelná s účinností emicizumabu, pokud jde o kontrolu krvácivých příhod u dospělých a dospívajících s těžkou HA bez inhibitorů, kteří předtím dostávali profylaxi faktorem FVIII. Rovněž výsledky analýz senzitivity potvrdily obdobné výsledky, když byly zahrnuty krvácivé příhody, které se vyskytly po zvýšení dávky MAR, nebo při srovnání terapií z hlediska léčených ABR.

Stanovisko Ústavu:

Ústav konstatuje, že na základě výsledků předloženého nepřímého srovnání akceptuje srovnatelnou účinnost MAR oproti emicizumabu a u pacientů s HA v rutinní profylaxi krvácivých příhod.

Údaje z klinické praxe

Nebyly předloženy.

Limitace klinické evidence

Limitací studie BASIS⁹ je v rameni profylaxe nízký počet pacientů s HB (N=19, 20,9 %), a adolescentů (N=18, 19,8 %) v baseline. Superioritu v parametru ABR studie BASIS pro celkovou populaci (HA a HB) nelze zobecňovat na populaci pacientů s HB. Zahrnutí populace pacientů s HA i HB do jedné klinické studie není obvyklý postup, ale EMA byl akceptován.

Limitací studie je dále nerandomizovaný a otevřený design studie a hodnocení pomocí intrapacientského srovnání. S ohledem na vzácnost onemocnění a vysokou heterogenitu populace pacientů s HA a HB (fenotyp krvácení, riziko krvácení v důsledku odlišného životního stylu a individuální anamnézy léčby, postižení cílových kloubů, inhibitory atd.) je však předložena klinická studie v souladu s požadavky EMA.

Další limitací je krátká doba sledování vzhledem k celoživotnímu charakteru onemocnění. Vstupní ABR ve skupině s předcházející profylaxí i on demand léčbou bylo na poměry v klinické praxi v Evropě poměrně vysoké (např. v ČR je medián léčených krvácení u pacientů s profylaxí dle dat Českého národního hemofilického programu 0 a průměr se pohybuje kolem 1). Stejně tak podíl pacientů s krvácením do kloubů, což je však obrazem jiného standardu profylaktické péče mimo Evropu (většina pacientů byla mimo Evropu).

Limitaci rovněž představuje nepřímé srovnání, jehož výsledky je třeba interpretovat s opatrností vzhledem k riziku zkreslení a nejistotě dané nízkým počtem hodnocených pacientů.

Posouzení inovativnosti

S ohledem na skutečnost, že držitel rozhodnutí o registraci nepožaduje posouzení předmětného přípravku jakožto vysoce inovativního, se Ústav posouzením kritérií inovativnosti podle ustanovení § 39d zákona o veřejném zdravotním pojištění a stanovením dočasné úhrady v tomto správním řízení nezabýval.

Závěr k terapeutické zaměnitelnosti

Stanovení referenční indikace

Referenční indikací je rutinní profylaxe krvácivých příhod u pacientů s hemofilií A nebo hemofilií B bez inhibitorů příslušných faktorů.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků

V návaznosti na provedené hodnocení terapeutické zaměnitelnosti, účinnosti, bezpečnosti a klinického využití posuzovaného léčivého přípravku Ústav konstatuje, že přípravek svými vlastnostmi odpovídá skupině v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků s obsahem léčivé látky marstacitab, a proto posuzovaný léčivý přípravek do této skupiny zařadil.

Identifikace srovnatelně účinné terapie v případě aplikace ustanovení § 39c odst. 2 písm. b) zákona o veřejném zdravotním pojištění

Nebyla nalezena.

Stanovení obvyklé denní terapeutické dávky (ODTD)

Návrh žadatele

21,4286 mg

Posouzení Ústavu

ODTD léčivé látky marstacimab byla stanovena dle ustanovení § 15 odst. 2 písm. b) vyhlášky č. 376/2011 Sb. na základě doporučeného dávkování uvedeného v SmPC¹. ODTD byla stanovena v referenční indikaci uvedené v kapitole „Stanovení referenční indikace“.

Léčivá látka	ATC	ODTD (mg)	Frekvence dávkování	DDD dle WHO ¹¹	Doporučené dávkování dle SmPC
marstacimab	B02BX11	21,4286	1x týdně	Není stanovena	Úvodní dávka 300 mg subkutánní injekcí a poté udržovací 150 mg jednou týdně

Podle SmPC LP HYMPAVZI je dávkování MAR v počáteční nasycovací dávce pro pacienty ve věku 12 let a starší, vážící alespoň 35 kg 300 mg subkutánní injekcí a poté 150 mg subkutánní injekcí podávanou jednou týdně.

Přepočet týdenní dávky na ODTD:

Týdenní dávka: 150 mg

Frekvence dávkování: 1x týdně

ODTD=150mg/7=21,4286 mg

Vzhledem k výše uvedenému Ústav stanovil ODTD ve výši 21,4286 mg, frekvence dávkování 1x týdně.

Identifikace populace pro stanovení zvýšené úhrady ev. bonifikace

Návrh žadatele

Nenavrhl.

Posouzení Ústavu

Další zvýšená úhrada v souladu s ustanovením § 39b odst. 11 zákona o veřejném zdravotním pojištění nebyla stanovena, jelikož o ni nebylo žádáno.

Úprava úhrady oproti základní úhradě v souladu s vyhláškou č. 376/2011 Sb., nebyla provedena, jelikož o úpravu úhrady nebylo žádáno.

Zařazení do skupiny přílohy č. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění

Léčivá látka marstacitab není vzhledem ke své charakteristice a způsobu použití zařazena do žádné skupiny přílohy č. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

STANOVENÍ VÝŠE ÚHRADY

Základní úhrada

Základní úhrada léčivé látky byla stanovena v souladu s ustanovením § 39c odst. 4 zákona o veřejném zdravotním pojištění. Vzhledem k tomu, že posuzovaný léčivý přípravek je zařazen do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků s obsahem léčivé látky marstacitab, stanovil Ústav základní úhradu léčivé látky v tomto přípravku obsažené.

Základní úhrada byla stanovena dle ustanovení **§ 39c odst. 2 písm. a)** zákona o veřejném zdravotním pojištění. Vychází z referenčního přípravku HYMPAVZI 150MG INJ SOL PEP 1X1ML a je ve výši 19889,0446 Kč za ODTD.

Stanovení základní úhrady dle ustanovení § 39c odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění

Vzhledem k tomu, že žádný z přípravků z posuzované skupiny nebyl v uplynulém ukončeném kalendářním čtvrtletí v ČR obchodován, byly do cenového srovnání zařazeny přípravky, které jsou předmětem tohoto správního řízení.

Rozhodným obdobím je 4. čtvrtletí 2025 dle ustanovení § 13 vyhlášky č. 376/2011 Sb.

Ceny byly zjišťovány u přípravků se silou v rámci intervalu.

Od cen přípravků zjištěných v zahraničí byly odečteny případné národní daně a obchodní přírážky dle Metodiky přepočtu nalezené ceny na cenu referenční. Takto získané ceny výrobce v národní měně byly přepočítány na Kč dle ustanovení § 11 vyhlášky č. 376/2011 Sb., tj. za 4. čtvrtletí 2025.

Zjištěné ceny výrobce byly vyděleny počtem ODTD v balení. Následně byl vybrán přípravek s nejnižší cenou za ODTD (zaokrouhlenou na 4 desetinná místa matematicky) – referenční přípravek.

Léčivá látka	ODTD	Referenční přípravek	Cena výrobce	Počet ODTD/balení	Země
marstacitab	21,4286 mg	HYMPAVZI 150MG INJ SOL PEP 1X1ML	139223,12635864 Kč	6,99999067	Kypr

Základní úhrada za jednotku lékové formy – **marstacitab** (ODTD 21,4286 mg)

Frekvence dávkování: 150 mg 1x týdně

Interval: od 75 mg do 300 mg

21,4286 mg (ODTD)

19889,0446 Kč (139223,12635864 Kč/6,99999067)

150 mg

139223,1266 Kč (19889,0446 Kč/21,4286*150)

Úhrada byla stanovena aritmeticky pro síly v intervalu podle ustanovení § 18 vyhlášky č. 376/2011 Sb.

Navýšení základní úhrady v souladu s ustanovením § 16 vyhlášky č. 376/2011 Sb.

Ústav neobdržel souhlas všech zdravotních pojišťoven se zvýšením úhrady ve veřejném zájmu.

Nejnižší cena výrobce je o 3,85 % nižší než průměr druhé a třetí nejnižší ceny výrobce téhož přípravku zjištěných v Chorvatsku a Německu.

Stanovení základní úhrady dle ustanovení § 39c odst. 2 písm. b) zákona o veřejném zdravotním pojištění

Nebyla nalezena jiná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Stanovení základní úhrady dle ustanovení § 39c odst. 2 písm. c) zákona o veřejném zdravotním pojištění

Nebyla zjištěna dohodnutá nejvyšší cena, která by byla nižší než základní úhrada vypočtená podle ustanovení § 39c odst. 2 písm. a) nebo b) zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Stanovení základní úhrady dle ustanovení § 39c odst. 2 písm. d) zákona o veřejném zdravotním pojištění

Nebyla zjištěna dohoda o úhradě léčivého přípravku náležejícího do posuzované skupiny, která by byla nižší než základní úhrada vypočtená podle ustanovení § 39c odst. 2 písm. a), b), nebo c) zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Stanovení základní úhrady dle ustanovení § 39c odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění

Léčivá látka marstacitab není zařazena do žádné skupiny přílohy č. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Úhrada za balení posuzovaného přípravku byla stanovena jako součin úhrady za jednotku lékové formy a počet jednotek lékové formy v balení.

Informativní přepočítání na maximální úhradu pro konečného spotřebitele (UHR) publikovanou v Seznamu cen a úhrad léčiv (SCAU) vycházející z nižší z hodnot jádrové úhrady za balení (JUHR) podle návrhu žadatele a stanoviska Ústavu:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu	Návrh žadatele: JUHR (Kč)	Stanovisko Ústavu: JUHR (Kč)	UHR v SCAU (Kč)
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML	153 961,58	139 223,13	160 009,46

Informativní přepočítání úhrady na hodnotu publikovanou v Seznamu cen a úhrad je proveden dle vzorce „UHR LP = [JUHR LP x sazba + NÁPOČET / (počet ODTD v balení ref. LP / počet ODTD v balení LP)] x DPH“ ze stanoviska Ministerstva zdravotnictví č. j. MZDR73123/2011 vydaného dne 9. 11. 2011.

Jedna další zvýšená úhrada

Nestanovena.

HODNOCENÍ NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY A DOPADU NA ROZPOČET

Dne 5. 6. 2025 Ústav obdržel odpověď žadatele (č. j. sukl218423/2025) na výzvu k součinnosti (č. j. sukl166721/2025). Dne 14. 10. 2025 obdržel Ústav v reakci na 1. hodnotící zprávu aktualizace farmakoekonomických analýz s návrhem důvěrné výše úhrady pro hodnocený přípravek (č. j. sukl420459/2025). Ústav se tedy dále vyjadřuje také k těmto aktuálním farmakoekonomickým podkladům.

Analýza nákladové efektivity

Základní popis a vstupy do analýzy

Při hodnocení nákladové efektivity přípravku HYMPAVZI v indikaci profylaxe krvácivých příhod u těžké hemofilie ve srovnání s komparátory FVIII a emicizumabem u populace pacientů s hemofilií A a ve srovnání s FIX u populace pacientů s hemofilií B byla použita analýza typu *cost-minimizatizon*. Použit byl Markovův model, celoživotní (85 let) časový horizont, perspektiva plátce zdravotní péče a 3 % diskontní sazba.

Údaje o účinnosti a bezpečnosti pocházely ze studie BASIS⁹ a nepřímých srovnání (ITC a STC) předložených v rámci obchodního tajemství. Účinnost za horizontem klinické studie nebyla extrapolována. Údaje o kvalitě života pacientů nebyly uplatněny.

Zahrnuty byly pouze přímé náklady na farmakoterapii, administraci, nežádoucí účinky a management krvácivých stavů. Zdrojem pro určení nákladů byl platný Seznam cen a úhrad LP/PZLÚ a platná legislativa. Náklady na hodnocený přípravek představovaly 176 846,67 Kč (vyšší než kalkulace Ústavu).

V žadatelem představeném základním scénáři představuje hodnocená intervence u pacientů s hemofilií A ve srovnání s emicizumabem náklady nižší o 48 859 420 Kč a ve srovnání s FVIII náklady vyšší o 71 946 215 Kč. U pacientů s hemofilií B představuje hodnocená intervence ve srovnání s FIX náklady vyšší o 59 787 688 Kč. K relevanci výsledku se Ústav vyjadřuje níže.

Posouzení předložené analýzy

Farmakoekonomický model a základní nastavení analýzy

Žadatel předložil vůči všem relevantním komparátorům analýzu typu CMA (*cost-minimization*). **Ústav vzhledem k prokázané vyšší účinnosti oproti komparátoru FVIII a srovnatelné účinnosti oproti komparátoru emicizumab v indikaci hemofilie A a srovnatelné účinnosti oproti komparátoru FIX u hemofilie B tento typ analýzy akceptuje. Ve srovnání s komparátorem FVIII (hemofilie A) se jedná o konzervativní předpoklad, viz blíže kapitola *Komparativní účinnost a bezpečnost*.** V analýze žadatel použil Markovův model, ve kterém uvažuje hodnoty ABR vycházející ze studie BASIS anebo ITC. **Ústav toto nastavení modelu akceptuje.**

Komparátor

Žadatel doplnil podle požadavku Ústavu srovnání s FVIII pro pacienty s hemofilí A. Jako zástupce FVIII uvažoval LP ELOCTA s největšími spotřebami v České republice. Vzhledem k tomu, že všechny léčivé přípravky s obsahem FVIII mají stejnou výši úhrady/ODTD, Ústav tento postup akceptuje.

Údaje o účinnosti a bezpečnosti

ABR

Vzhledem k tomu, že mezi marstacimabem, emicizumabem a FVIII (hemofilie A) a mezi marstacimabem a FIX (hemofilie B) v parametrech celkového ABR nebyly pozorovány statisticky významné rozdíly, uvažoval žadatel identickou účinnost (RR=1). Žadatel uvažoval rovněž shodné podíly pacientů bez krvácení v indikaci hemofilie A i hemofilie B. Ústav tento postup akceptuje.

Mortalita

V základním scénáři žadatel u pacientů s hemofilí předpokládá mortalita identická jako v případě obecné populace. Vzhledem k tomu, že evidence z klinické praxe naznačuje, že pacienti s hemofilí mají vyšší riziko úmrtí ve srovnání s běžnou populací a toto riziko stoupá se závažnosti onemocnění^{12,13} žadatel v analýze senzitivity testoval alternativní scénář s vyšším uvažovaným rizikem úmrtí kalkulovaným s pomocí uplatnění standardizovaného rizika úmrtí u pacientů s těžkou hemofilí (SMR – standardised mortality ratio) 2,4 dle dat nizozemského registru ((SMR 2,4, 95% CI 1.8–3.0))¹³. Ústav konstatuje, že uplatnění SMR má na výsledky analýz vůči všem relevantním komparátorům příznivý vliv, nastavení analýzy v základních scénářích proto považuje za konzervativní.

Následná léčba

Pacienti v obou ramenech (u hemofilie A i B) mohou na základě „discontinuation rate“ z podkladových studií, resp. ITC léčbu ukončit a přejít na terapii FVIII nebo emicizumabem (hemofilie A) nebo léčbu FIX (hemofilie B). V případě hemofilie žadatel zohlednil možnost použití emicizumabu v ramenech hodnocené intervence a FVIII. Žadatel na základě českého registru odvodil podíl pacientů a uplatnil předpoklad, že pro následnou terapii je emicizumabem léčeno 26 % pacientů s ukončením MAR nebo FVIII a ostatní (74 %) jsou léčeni faktorem. Ústav tento postup akceptuje.

Náklady

Ústav uvádí, že v předložené analýze žadatel uvažoval, náklady na marstacimab (LP HYMPAVZI) ve výši 176 846,67 Kč na balení. Dle aktuálních cenových referencí vyhledaných Ústavem jsou náklady na balení ve výši 160 009,46 Kč, tedy o 9,5 % nižší než uvažované žadatelem.

Ústav proto přistoupil k vlastními přepočtu, ve kterém snížil náklady na marstacimab o 9,5 %.

V základním scénáři uvažoval žadatel výchozí hmotnost 79,5 kg na základě českých normativů. Ústav tento postup akceptuje. Změny hmotnosti testoval žadatel v analýze senzitivity a Ústav konstatuje, že na výsledky nemají zásadní vliv.

Uvažovaná dávka FVIII v základním scénáři je 80 IU/kg tělesné hmotnosti a týden, což odpovídá SmPC přípravku ELOCTA a bylo použito i ve správních řízeních pro LP HEMLIBRA sp. zn. SUKLS128643/2019 a SUKLS93568/2020. Ústav toto nastavení základního scénáře akceptuje.

U emicizumabu uvažoval žadatel iniciační dávku 3 mg/kg QW po dobu 4 týdnů, následovanou udržovací dávkou 1,5 mg/kg QW, 3 mg/kg Q2W resp. 6 mg/kg Q4W.

Ústavu je z úřední činnosti známo, že náklady na emicizumab (LP HEMLIBRA) jsou ovlivněny uzavřenými limitacemi nákladů, viz správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS93568/2020⁴, z toho důvodu nelze považovat náklady na LP HEMLIBRA za relevantní. Náklady na emicizumab uvažoval žadatel i v následné léčbě v rámci hodnocené intervence i komparátora FVIII. Vzhledem k tomu, že tyto náklady prezentoval žadatel odděleně, mohl Ústav přistoupit k posouzení vlivu relevantních nákladů na emicizumab ve všech scénářích pro hemofilii A.

Výsledky analýzy

Tabulka: Relevantní výsledek analýzy nákladové efektivity dle Ústavu (snížení nákladů na marstacimab o 9,5 %)

a) Hemofilie A

	Náklady	Δ Nákladů
marstacimab	198 154 692 Kč	-
emicizumab	257 753 233 Kč	-59 598 541 Kč
FVIII	136 947 599 Kč	61 207 093 Kč

Výsledky vůči oběma komparátorům nelze považovat za relevantní, jelikož Ústavu je z úřední činnosti známo, že náklady na emicizumab jsou ovlivněny uzavřenými limitacemi nákladů, viz správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS93568/2020⁴. Při zohlednění těchto nákladů by byl marstacimab nákladnější než komparátory emicizumab i FVIII (emicizumab v následné léčbě). Ústav při posouzení rovněž zohlednil snížení i nákladů na emicizumab v následné léčbě v rámci marstacimabu.

b) Hemofilie B

	Náklady	Δ Nákladů
marstacimab	181 057 269 Kč	-
FIX	132 008 703 Kč	49 048 566 Kč

Návrh finančního ujednání ze strany držitele

Žadatel dne 14. 10. 2025 předložil scénář s navrženým finančním ujednáním (č. j. sukl420459/2025). Ústav uvádí, že výsledek tohoto scénáře pro část indikace **hemofilie A** při zohlednění nákladů na emicizumab známých Ústavu z úřední činnosti (v rámci komparátorů i v rámci hodnocené intervence v rámci následné léčby) ukazuje, že náklady na hodnocený přípravek nejsou vyšší než náklady na komparátory emicizumab a FVIII.

Pro část indikace **hemofilie B** výsledek tohoto scénáře ukazuje, že náklady na hodnocený přípravek nejsou vyšší než náklady na komparátor FIX.

Scénář je relevantní pro zhodnocení nákladové efektivity, neboť ve správním řízení byly dne 19. 12. 2025 (č. j. sukI533148/2025) předloženy smlouvy uzavřené mezi žadatelem a zdravotními pojišťovnami reflektující náklady na hodnocenou intervenci dle návrhu žadatele (dále jen „předmětné smlouvy“).

Nejistota a analýzy senzitivity

Ze zásadních parametrů, předpokladů a metod použitých analýze významně ovlivňují výsledek:

- nezahrnutí přerušení léčby (hemofilie A: -71,3 milionů Kč vs. emicizumab, 148,7 milionů Kč vs. FVIII; hemofilie B: 134,6 milionů Kč vs. FIX)
- snížení míry přerušení léčby (hemofilie A: -54,7 milionů Kč vs. emicizumab, 80,8 milionů Kč vs. FVIII; hemofilie B: 67,9 milionů Kč vs. FIX)
- zvýšení hmotnosti o 10 % (hemofilie A: -65,0 milionů Kč vs. emicizumab, 67,9 milionů Kč vs. FVIII; hemofilie B: 54,5 milionů Kč vs. FIX)
- pokles hmotnosti o 10 % (hemofilie A: -32,7 milionů Kč vs. emicizumab, 76,0 milionů Kč vs. FVIII; hemofilie B: 65,1 milionů Kč vs. FIX)

Dále má na výsledek výrazný vliv změna diskontace (0 % a 5 %).

Žadatel dále testoval scénáře se změnou vstupního věku, časového horizontu, odlišné míry eskalace dávkování marstacimabu a uplatnění SMR (specifické mortality), tyto parametry však na výsledky nemají výrazný vliv.

Ústav uvádí, že při zohlednění nákladů na marstacimab dle aktuálních cenových referencí nalezených Ústavem by byly výsledky analýzy senzitivity příznivější.

Zásadní nedostatky předložené analýzy

Ústav nenalezl zásadní nedostatky znemožňující posouzení předložené analýzy nákladové efektivity.

Závěr analýzy

Ústavem preferovaný základní scénář na základě předložené analýzy nákladové efektivity LP HYMPAVZI v indikaci profylaxe krvácivých stavů u těžké hemofilie u populace pacientů s hemofilií A je ve srovnání s emicizumabem méně nákladný o 59,6 milionů Kč a ve srovnání s FVIII nákladnější o 61,2 milionů Kč. Scénáře nejsou relevantní pro zhodnocení nákladové efektivity, jelikož náklady na emicizumab (jak komparátor, tak i v následné léčbě) jsou ovlivněny existencí finančního ujednání. U populace pacientů s hemofilií B je přípravek HYMPAVZI ve srovnání s FIX nákladnější o 49,0 milionů Kč. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci.

Při zohlednění navrženého finančního ujednání je možné hodnocenou intervenci považovat za nákladově efektivní v celém rozsahu požadovaných podmínek úhrady, neboť náklady nejsou vyšší než náklady na výše uvedené komparátory, i při zohlednění nákladů na emicizumab známých Ústavu z úřední činnosti. Tento scénář je relevantní pro zhodnocení nákladové efektivity, neboť ve správním řízení byly předloženy předmětné smlouvy.

Ústav konstatuje, že pro hodnocenou intervenci je splněna podmínka ustanovení § 15 odst. 8 zákona o veřejném zdravotním pojištění, kdy hodnocenou intervenci lze považovat za nákladově efektivní, pokud při srovnatelných nákladech přináší stejný nebo vyšší terapeutický účinek spočívající v prodloužení života, zlepšení kvality života nebo zlepšení podstatného a měřitelného kritéria příslušného onemocnění, pokud při alespoň srovnatelném terapeutickém účinku znamená použití hodnocené intervence nižší celkové náklady pro systém veřejného zdravotního pojištění, nebo při vyšších nákladech a vyšším terapeutickém účinku je tento poměr srovnatelný s jinými terapeutickými postupy hrazenými z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

Analýza dopadu na rozpočet

Základní popis a vstupy do analýzy

Analýza odhadovala dopad na rozpočet LP HYMPAVZI v indikaci profylaxe krvácivých příhod u těžké hemofilie ve srovnání s komparátory FVIII a emicizumabem u populace pacientů s hemofilií A a ve srovnání s FIX u populace pacientů s hemofilií B. Velikost cílové populace byla na základě výstupů z registru ČNHP za rok 2023¹⁴ a advisory boardu (předložený v rámci obchodního tajemství) odhadnuta na 9 pacientů ročně a penetrace na trh představovala 100 %, což odpovídá celkem 9 pacientů léčených ročně v prvních pěti letech (hemofilie A), resp. 2 vhodní pacienti ročně a penetrace na trh rovněž 100 %, což odpovídá celkem 2 pacientům léčených ročně v prvních pěti letech (hemofilie B). Zahrnuty byly pouze přímé náklady na farmakoterapii a náklady na zdravotní péči. Výše nákladů odpovídala analýze nákladové efektivity. Náklady na hodnocený přípravek představovaly 176 846,67 Kč (vyšší než kalkulace Ústavu).

V žadatelem představené analýze činil dopad na rozpočet 28 974 794 až 25 644 846 Kč v prvních pěti letech (hemofilie A), resp. 9 596 624 až 8 817 636 Kč v prvních pěti letech (hemofilie B). Celkové náklady (5 let) na léčbu 1 pacienta léčeného LP HYMPAVZI odpovídaly 44 534 125 Kč, léčeného emicizumabem 62 098 441 Kč, léčeného FVIII 19 108 705 Kč a léčeného FIX pak 22 223 644 Kč. K relevanci výsledku se Ústav vyjadřuje níže.

Posouzení předložené analýzy

Počet pacientů

Podle výstupů z registru za rok 2023¹⁴ je v České republice 641 pacientů s hemofilií A, z toho 61 % dospělých a 104 pacientů s hemofilií B, z toho 64 % dětí. Z registru rovněž vyplývá, že 37,3 % dospělých pacientů má těžkou formu hemofilie A, což je absolutně 147 osob. U dětí je 100 pacientů s těžkou formou hemofilie A, což je 40,5 % celé dětské populace s hemofilií A. U hemofilie B se těžká forma vyskytuje u 38,8 % (N=26) dospělých a u 32,4 % (N=12) dětí. Z celkové populace 247 pacientů s těžkou formou hemofilie A, resp. 38 pacientů s těžkou formou hemofilie B, kteří jsou vhodní k léčbě bude počet indikovaných pacientů pro marstacimab velmi limitovaný. Důvodem je dobrá účinnost stávající léčby, která obvykle nevyžaduje změnu terapie. Dle advisory boardu (plné znění předložené v rámci obchodního tajemství) by v případě hemofilie A o nasazení terapie marstacimabem uvažovali u pacientů, u kterých zvažují přechod na emicizumab ze standardní medikace. V případě hemofilie B by byli vhodní pacienti, u kterých je nedostatečná compliance/spokojenost s jejich dosavadní terapií.

Žadatel proto odhaduje, že vhodných pacientů pro léčbu marstacimabem bude 9 pacientů s hemofilií A a 2 pacienti s hemofilií B, kteří všichni budou na léčbu marstacimabem nasazeni. Žadatel zvyšování počtu pacientů neuvažuje. Ústav tento odhad počtu pacientů akceptuje.

Terapeutický mix

Pro populaci s hemofilií A uvažoval žadatel terapeutický mix komparátorů emicizumab a komparátor FVIII s podílem pacientů 26:74 dle výstupů registru Českého národního hemofilického programu (ČNHP)¹⁴. Po aplikaci penetrace pro jednotlivé intervence žadatel neuplatnil v analýze zaokrouhlení počtu léčených pacientů. Zaokrouhlení by vzhledem k relativně nízkým počtům pacientů mělo významný vliv na výsledek analýzy. Ústav proto tento postup akceptuje.

Pro populaci s hemofilií B uvažoval žadatel jako komparátor pouze FIX.

Náklady

V analýze žadatel uvažoval nediskontované náklady převzaté z modelu nákladové efektivity při zachování vlivu nárůstu hmotnosti pacientů a přerušení léčby. V nákladech žadatel zohlednil i náklady na následnou léčbu a management onemocnění a krvácivých stavů.

Ústav uvádí, že v předložené analýze žadatel uvažoval, náklady na marstacimab (LP HYMPAVZI) ve výši 176 846,67 Kč na balení. Dle aktuálních cenových referencí vyhledaných Ústavem jsou náklady na balení ve výši 160 009,46 Kč, tedy o 9,5 % nižší než uvažované žadatelem.

Ústav proto přistoupil k vlastními přepočtu, ve kterém snížil náklady na marstacimab o 9,5 %.

Ústavu je z úřední činnosti známo, že náklady na emicizumab (LP HEMLIBRA) jsou ovlivněny uzavřenými limitacemi nákladů, viz správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS93568/2020⁴, z toho důvodu nelze považovat náklady na LP HEMLIBRA za relevantní.

Výsledky a nejistota analýzy

Výsledek analýzy dopadu na rozpočet není relevantní z důvodu existence finančního ujednání na emicizumab.

a) Hemofilie A

Tabulka: Relevantní výsledek analýzy dopadu na rozpočet dle Ústavu (snížení nákladů na marstacimab o 9,5 %)

		Rok 1	Rok 2	Rok 3	Rok 4	Rok 5
Svět bez intervence	Počet pacientů FVIII	6,66	6,66	6,66	6,66	6,66
	Počet pacientů emicizumab	2,34	2,34	2,34	2,34	2,34
	Náklady FVIII (Kč)	29 215 552	30 114 127	30 953 947	31 692 415	32 334 606
	Náklady emicizumab (Kč)	32 449 395	29 961 109	29 715 059	29 388 494	28 995 257
	Náklady celkem (Kč)	61 664 947	60 075 237	60 669 006	61 080 909	61 329 863
Svět s intervencí	Počet pacientů FVIII	0	0	0	0	0
	Počet pacientů emicizumab	0	0	0	0	0
	Počet pacientů marstacimab	9	9	9	9	9
	Náklady FVIII (Kč)	0	0	0	0	0
	Náklady emicizumab (Kč)	0	0	0	0	0
	Náklady marstacimab (Kč)	82 324 630	84 191 890	82 757 501	81 433 007	80 187 291
	Náklady celkem (Kč)	82 324 630	84 191 890	82 757 501	81 433 007	80 187 291
	Dopad na rozpočet (Kč)	20 659 683	24 116 653	22 088 495	20 352 098	18 857 428

b) Hemofilie B

Tabulka: Relevantní výsledek analýzy dopadu na rozpočet dle žadatele Ústavu (snížení nákladů na marstacimab o 9,5 %)

		Rok 1	Rok 2	Rok 3	Rok 4	Rok 5
Svět bez intervence	Počet pacientů FIX	2	2	2	2	2
	Náklady FIX (Kč)	10 981 657	10 861 864	10 687 399	10 486 002	10 263 057
	Náklady celkem (Kč)	10 981 657	10 861 864	10 687 399	10 486 002	10 263 057
Svět s intervencí	Počet pacientů FIX	0	0	0	0	0
	Počet pacientů marstacimab	2	2	2	2	2
	Náklady FIX (Kč)	0	0	0	0	0
	Náklady marstacimab (Kč)	18 730 479	18 980 403	18 481 531	18 014 123	17 572 378
	Náklady celkem (Kč)	18 730 479	18 980 403	18 481 531	18 014 123	17 572 378
	Dopad na rozpočet (Kč)	7 748 822	8 118 539	7 794 132	7 528 121	7 309 321

Tabulka: Souhrnný scénář analýzy dopadu na rozpočet dle Ústavu

Výsledek není relevantní z důvodu existence finančního ujednání na emicizumab.

	Rok 1	Rok 2	Rok 3	Rok 4	Rok 5
Dopad na rozpočet hemofilie A (Kč)	20 659 683	24 116 653	22 088 495	20 352 098	18 857 428
Dopad na rozpočet hemofilie B (Kč)	7 748 822	8 118 539	7 794 132	7 528 121	7 309 321
Dopad na rozpočet marstacimab celkem (Kč)	28 408 504	32 235 192	29 882 628	27 880 219	26 166 749

Návrh finančního ujednání ze strany držitele

Žadatel dne 14. 10. 2025 předložil scénář s navrženým finančním ujednáním (č. j. sukl420459/2025). Výsledek tohoto scénáře při zohlednění navrženého finančního ujednání předloženého žadatelem a nákladů na emicizumab známých Ústavu z úřední činnosti je příznivější. Scénář je relevantní pro zhodnocení dopadu na rozpočet, neboť ve správním řízení byly dne 19. 12. 2025 (č. j. sukl533148/2025) předloženy předmětné smlouvy.

Posouzení výše dopadu na rozpočet

Ústav konstatuje, že výsledek dopadu na rozpočet je zatížen nejistotou ohledně nákladů na emicizumab, které jsou ovlivněny finančním ujednáním. Ústav v souladu s rozhodnutím Ministerstva zdravotnictví č. j. MZDR 55936/2015-2/FAR, sp. zn. FAR: L85/2015 **nemohl porovnat, zda kalkulovaný dopad na rozpočet je ve srovnání se skutkově obdobnými případy přiměřený či vyšší**. Pro úplnost však Ústav v tabulce níže provedl srovnání se skutkově obdobnými případy.

Tabulka: Srovnání se skutkově obdobnými případy - správní řízení pro shodná či obdobná onemocnění

spisová značka	léčivý přípravek	indikace	dopad na rozpočet
SUKLS19392/2013	NPLATE	ITP	5,9 mil. Kč – úspora 25,97 mil. Kč
SUKLS124024/2017	REVOLADE	ITP	4,9–3,2 mil. Kč, kumulativně 19,6 mil. Kč
SUKLS201636/2016	REVOLADE	ITP	<i>Dohoda s plátcí</i>
SUKLS251442/2018	HEMLIBRA	Hemofilie A s inhibítorem	Neutrální až náklady šetřící
SUKLS93568/2020	HEMLIBRA	Hemofilie A bez inhibitoru	<i>Dohoda s plátcí</i>
SUKLS96336/2021	DOPTLET	trombocytopenie s těžkým onemocněním jater	Neutrální až náklady šetřící
SUKLS304802/2020	TAVLESSE	ITP	22,9 –31,7 mil. Kč
SUKLS274040/2021	NPLATE	primární chronická imunitní trombocytopenie	Neutrální až náklady šetřící
SUKLS166094/2023	CABLIVI	TTP	<i>Dohoda s plátcí</i>
SUKLS67383/2023	OCTIM	Hemofilie A a vW nemoc	Neutrální až náklady šetřící

Konkrétní výše, co za přiměřený nebo nepřiměřený dopad na rozpočet ve skutkově obdobných případech lze považovat, je dle výše uvedeného rozhodnutí vymezena rozhodovací praxí správních orgánů a soudů. Srovnání se skutkově obdobnými případy však dle rozhodnutí Ministerstva zdravotnictví MZDR 50688/2019-2/CAU Zn.: L71/2019 není bez dalšího dostatečné pro posouzení výše dopadu na rozpočet. Ústav proto níže uvádí následující.

V případě, že **stanovení úhrady léčivému přípravku s výše uvedeným dopadem na rozpočet není v souladu s veřejným zájmem** dle ustanovení § 17 odst. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění ve smyslu ohrožení fungování systému zdravotnictví a jeho stability, **Ústav požaduje takové vyjádření zdravotních pojišťoven ve lhůtě pro vyjádření se k podkladům**. Dle rozhodnutí Ministerstva zdravotnictví mají být vyjádření zdravotních pojišťoven k výši dopadu na rozpočet přezkoumatelná a podložená relevantními úvahami.

Pokud Ústav odůvodněné vyjádření zdravotních pojišťoven obdrží, navrhne léčivému přípravku úhradu nestanovit.

Ústav konstatuje, že nedisponuje důkazem, podle kterého by stanovení úhrady vedlo k ohrožení veřejného zájmu.

Závěr analýzy

Analýza dopadu na rozpočet LP HYMPAVZI v indikaci profylaxe krvácivých příhod u těžké hemofilie odhaduje 9 pacientů ročně u populace pacientů s hemofilií A a 2 pacienty ročně u populace s hemofilií B a ukazuje výsledek ve výši 20,7 až 18,9 milionů Kč (hemofilie A), resp. 7,7 až 7,3 milionů Kč (hemofilie B), souhrnně tedy 28,4 až 26,2 milionů Kč v prvních pěti letech. Tento výsledek však nelze považovat za relevantní, s ohledem na existenci finančního ujednání na emicizumab. **Při zohlednění uzavřených finančních ujednání je odhadovaný výsledek nižší.** Výsledný dopad na rozpočet lze s ohledem na výše uvedené v kapitole „*Posouzení výše dopadu na rozpočet*“ považovat za souladný s veřejným zájmem.

PODMÍNKY ÚHRADY

Žadatelem navržené podmínky úhrady

AE/HEM

P: Marstacimab je hrazen v rutinní profylaxi krvácivých příhod u pacientů ve věku 12 let a starších, s tělesnou hmotností nejméně 35 kg, s

(a) těžkou hemofilií A bez inhibitoru faktoru VIII nebo

(b) těžkou hemofilií B bez inhibitoru faktoru IX.

Ústavem stanovené podmínky úhrady

Dle ustanovení § 39b odst. 10 písm. a) a c) zákona o veřejném zdravotním pojištění a ustanovení § 34 odst. 1 písm. a) a b), § 34 odst. 2 a § 36 odst. 4 vyhlášky č. 376/2011 Sb. Ústav stanovil tyto podmínky úhrady:

A,E/HEM

P: Marstacimab je hrazen v rutinní profylaxi krvácivých příhod u pacientů ve věku 12 let a starších, s tělesnou hmotností nejméně 35 kg, s

- těžkou hemofilií A bez inhibitoru faktoru VIII nebo
- těžkou hemofilií B bez inhibitoru faktoru IX.

Odůvodnění podmínek úhrady

Preskripční omezení (vykazovací limit)

Ústav s ohledem na účinnost a bezpečnost terapie stanovil LP HYMPAVZI preskripční omezení „A,E/HEM“. Symbol „A“ stanovuje, že předmětné léčivé přípravky jsou pojišťovně účtovány jako zvlášť účtované léčivé přípravky (ZÚLP) a to z toho důvodu, že jsou podávány při výkonu ambulantní péče. LP HYMPAVZI jsou aplikovány ve formě subkutánní injekce. Léčba má být zahájena pod dohledem lékaře zkušeného v léčbě hemofilie, tedy hematologa (HEM). Ústav s ohledem na účinnost a bezpečnost terapie předmětnými léčivými přípravky stanovil preskripční omezení na lékaře se specializací HEM (hematologie a transfuzní lékařství, dětská onkologie a hematologie) bez možnosti přenositelnosti preskripce na lékaře jiné odbornosti. Zajištění monitoringu hemokoagulačních parametrů i adekvátní péče o pacienty s HA patří do rukou zkušeného specialisty. Není proto vhodné přenést preskripci přípravků na lékaře jiných specializací (symbol „E“).

Indikační omezení

Ústav stanovil indikační omezení v souladu s návrhem žadatele a v souladu s registrovanou indikací. Cílová populace pro úhradu je v souladu se shromážděnými odbornými podklady.

K výroku 1.

Ústav léčivému přípravku:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML

na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. d) a dle ustanovení § 39a odst. 2 a) zákona o veřejném zdravotním pojištění **stanovil maximální cenu ve výši 145 873,21 Kč.**

Do cenového srovnání byly zahrnuty ceny posuzovaného přípravku s odchylkou ve velikosti balení do 10 % jednotek lékové formy dle ustanovení § 8 vyhlášky č. 376/2011 Sb.

Od cen přípravků zjištěných v zahraničí byly odečteny případné národní daně a obchodní přírážky dle Metodiky. Takto získané ceny výrobce v národní měně byly přepočítány na Kč dle ustanovení § 3 vyhlášky č. 376/2011 Sb., tj. za 4. čtvrtletí 2025.

Maximální cena byla vypočtena jako průměr cen výrobce přípravku v zemích referenčního koše (Chorvatsko, Německo, Slovinsko).

Návrh žadatele (153 961,58 Kč) není nižší než maximální cena zjištěná Ústavem. Ústav stanovil maximální cenu ve výši zjištěné Ústavem.

Kód SÚKL	Název LP	Maximální cena	MFC
0268692	HYMPAVZI 150MG INJ SOL PEP 1X1ML	145 873,21 Kč	167 606,52 Kč

K výroku 2.

Ústav léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název	Doplňek názvu
0268692	HYMPAVZI	150MG INJ SOL PEP 1X1ML

na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. e) a dle ustanovení § 39c odst. 1 zákona o veřejném zdravotním pojištění **zařadil do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků s obsahem léčivé látky marstacitab.**

Ústav v probíhajícím správním řízení posoudil terapeutickou zaměnitelnost, bezpečnost a klinické využití posuzovaného léčivého přípravku v souladu s ustanovením § 39c odst. 1 zákona o veřejném zdravotním pojištění. Ústav konstatuje, že léčivý přípravek odpovídá skupině v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků s obsahem léčivé látky marstacitab, proto uvedený léčivý přípravek do této skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků zařadil.

Ústav výše uvedenému léčivému přípravku na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. a) a dle ustanovení § 39c odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění **stanovil úhradu ze zdravotního pojištění ve výši 139 223,13 Kč.**

Jak je uvedeno v části „Základní úhrada“ tohoto rozhodnutí, a to na základě skutečností uvedených tamtéž, byla stanovena výše úhrady za jednotku lékové formy. Výše úhrady za balení léčivého přípravku byla stanovena jako součin úhrady za jednotku lékové formy a počtu jednotek lékové formy v balení. Výsledná úhrada byla zaokrouhlena na dvě desetinná místa.

Ústavem stanovená výše úhrady uvedeného léčivého přípravku je nižší než návrh žadatele (153 961,58 Kč) a pro výši úhrady tohoto přípravku je rozhodné stanovisko Ústavu.

Ústav výše uvedenému léčivému přípravku na základě ustanovení § 15 odst. 10 písm. b) a dle ustanovení § 39b odst. 10 písm. a) a c) zákona o veřejném zdravotním pojištění a ustanovení § 34 odst. 1 písm. a) a b), § 34 odst. 2 a § 36 odst. 4 vyhlášky č. 376/2011 Sb. **stanovil podmínky úhrady ze zdravotního pojištění takto:**

A,E/HEM

P: Marstacimab je hrazen v rutinní profylaxi krvácivých příhod u pacientů ve věku 12 let a starších, s tělesnou hmotností nejméně 35 kg, s

- těžkou hemofilií A bez inhibitoru faktoru VIII nebo
- těžkou hemofilií B bez inhibitoru faktoru IX.

Odůvodnění: Ústav stanovil podmínky úhrady tak, jak je blíže uvedeno v části „Podmínky úhrady“.

Vzhledem k výše uvedeným skutečnostem Ústav rozhodl, jak je uvedeno ve výrocích tohoto rozhodnutí.

Dle ustanovení § 39h odst. 4 zákona o veřejném zdravotním pojištění platí, že odvolání proti rozhodnutí v hloubkové nebo zkrácené revizi, rozhodnutí o stanovení maximální ceny nebo rozhodnutí o stanovení výše a podmínek úhrady, jakož i o jejich změně nebo zrušení, a rozklad proti rozhodnutí v přezkumném řízení nemá odkladný účinek. Je-li takové rozhodnutí napadeno odvoláním nebo rozkladem, je předběžně vykonatelné podle odstavce 3 téhož ustanovení obdobně.

V případě, že rozhodnutí, resp. jeho část, bylo napadeno odvoláním, rozhodnutí, ačkoli nenabývá právní moci, je tzv. předběžně vykonatelné. Okamžikem předběžné vykonatelnosti rozhodnutí nastávají právní účinky rozhodnutí, tj. od tohoto okamžiku je stanovena nebo změněna maximální cena nebo výše a podmínky úhrady léčivých přípravků bez ohledu na skutečnost, že rozhodnutí bylo napadeno odvoláním.

Pro předběžnou vykonatelnost rozhodnutí je rozhodným okamžikem den, v němž mělo předmětné rozhodnutí nabýt právní moci. Jestliže tento den spadá na 1-15. den v měsíci (včetně), nabývá rozhodnutí předběžné vykonatelnosti vydáním prvního následujícího seznamu. Jestliže tento den připadne na 16. a následující den v měsíci, je rozhodnutí předběžně vykonatelné vydáním druhého následujícího seznamu dle ustanovení § 39n odst. 1 zákona o veřejném zdravotním pojištění. V důsledku této skutečnosti jsou maximální cena nebo výše a podmínky úhrady stanoveny nebo změněny buď k prvnímu dni následujícího měsíce (pokud rozhodnutí mělo nabýt právní moci do 15. dne v měsíci včetně) nebo k prvnímu dni dalšího následujícího měsíce (pokud rozhodnutí mělo nabýt právní moci po 15. dni v měsíci) bez toho aniž by rozhodnutí nabylo právní moci z důvodu jeho napadení odvoláním.

V případě, že v odvolacím řízení Ministerstvo zdravotnictví zruší rozhodnutí Ústavu, nastupují v souladu s ustanovením § 39h odst. 5 téhož zákona účinky takového zrušujícího rozhodnutí podle odstavce 3 obdobně. Rozhodnou skutečností tedy opět je, zda zrušující rozhodnutí nabylo právní moci do 15. dne kalendářního měsíce včetně, to je pak vykonatelné vydáním nejbližšího následujícího seznamu podle ustanovení § 39n odst. 1 téhož zákona. Pokud nabylo právní moci po 15. dni kalendářního měsíce, je vykonatelné vydáním druhého nejbližšího

seznamu podle téhož ustanovení. Rozhodnutí Ústavu je tak zrušeno k 1. dni následujícího nebo druhého následujícího měsíce. Z důvodu ochrany práv nabytých v dobré víře a ochrany veřejného zájmu, stanovil zákonodárce účinky zrušujícího rozhodnutí ve vztahu k přezkoumávanému rozhodnutí ex nunc. Smyslem tohoto ustanovení je šetřit subjektivní práva jak účastníků řízení, tak pacientů. V případě rušení rozhodnutí, jímž byly stanoveny nebo změněny maximální cena, resp. výše a podmínky úhrady, je tedy preferována ochrana nabytých práv. Účinky druhoinstančního rozhodnutí nastávají až ode dne jeho vykonatelnosti. Maximální ceny, resp. výše a podmínky úhrady, předběžně vykonatelné podle následně zrušeného rozhodnutí jsou proto platné od okamžiku předběžné vykonatelnosti rozhodnutí až do prvního dne prvního, resp. druhého měsíce následujícího po měsíci, v němž je zrušující rozhodnutí vydáno.

Poučení o odvolání

Proti tomuto rozhodnutí je možno podat podle ustanovení § 81 a násl. správního řádu u Ústavu odvolání, a to v souladu s ustanovením § 83 odst. 1 správního řádu ve lhůtě 15 dnů ode dne jeho doručení. O odvolání rozhoduje Ministerstvo zdravotnictví ČR. Odvolání nemá odkladný účinek.

Otisk úředního razítka

Mgr. Eva Forgáčová
vedoucí Oddělení právní podpory cenové a úhradové regulace
Státního ústavu pro kontrolu léčiv