

Sp. zn.: SUKLS542510/2025

Vyřizuje: Magdalena Verešová

Datum: 30. 4. 2026

Vyvěšeno dne: 30. 4. 2026

## VÝZVA K SOUČINNOSTI POSKYTOVÁNÍ INFORMACÍ

Dne **30. 12. 2025** obdržel Státní ústav pro kontrolu léčiv se sídlem Šrobárova 49/48, 100 00 Praha 10 (dále jen „Ústav“) žádost o stanovení výše a podmínek úhrady ze zdravotního pojištění léčivých přípravků:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1

(dále jen „REBLOZYL“)

podanou společností

**Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG**

IČ: 800030

Blanchardstown Corporate Park 2, D15 T867 Dublin

Irsko

*Zastoupena:***Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.**

IČ: 43004351

Budějovická 778/3, 140 00 Praha 4

(dále jen „žadatel“ nebo „Bristol-Myers“)

podle ustanovení § 39f odst. 1 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“).

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS542510/2025, vedle žadatele, s těmito účastníky řízení:

**Všeobecná zdravotní pojišťovna České republiky**

IČ: 41197518

Orlická 2020/4, 130 00 Praha 3

**Česká průmyslová zdravotní pojišťovna**

IČ: 47672234

Jeremenkova 161/11, 703 00 Ostrava - Vítkovice

*Zastoupena:***Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.**

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha - Žižkov

**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 - Žižkov

**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 – Žižkov

**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 - Žižkov

**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 - Žižkov

**Zdravotní pojišťovna ministerstva vnitra České republiky**

IČ: 47114304

Vinohradská 2577/178, Vinohrady, 130 00 Praha 3

*Zastoupena:*

**Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.**

IČ: 63830515

náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha – Žižkov

Vzhledem k povinnosti účastníků řízení stanovené dle ustanovení § 50 odst. 2 zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „správní řád“), poskytovat správnímu orgánu při opatřování podkladů pro vydání rozhodnutí součinnost, Ústav

**vyzývá**

účastníka Bristol-Myers k součinnosti při opatrování podkladů pro vydání rozhodnutí spočívající v doplnění farmakoekonomických podkladů.

## I. ANALÝZA NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY

### 1. Předložení farmakoekonomického modelu

Žadatel uvedl, že v předložené analýze nákladové efektivity byl použit farmakoekonomický model. Model nicméně nebyl Ústavu předložen. Ústav uvádí, že vzhledem k níže uvedeným nedostatům a nejasnostem ve vstupních údajích doporučuje žadateli předložení farmakoekonomického modelu.

Skutečnost, že žadatel Ústavu nepředložil farmakoekonomický model, vede k tomu, že je Ústav následně nucen požadovat přepracování analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet. Ústav doporučuje žadateli, aby v rámci správních řízení předkládal mimo jiné také funkční model, neboť tak může dojít k podstatnému urychlení v oblasti hodnocení předložených farmakoekonomických podkladů s ohledem na to, že Ústav může snadno zjistit, jaký vliv mají požadované úpravy modelu na finální výsledek analýzy (tj. na hodnotu ICER nebo dopad na rozpočet), a přistupovat k vyzývání účastníků řízení jen v závažných situacích. Předložený model (soubor v programu Microsoft Excel, TreeAge apod.) lze označit za předmět obchodního tajemství podle ustanovení § 39f odst. 11 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

### 2. Zdrojová data analýzy

V souladu s ustanovením § 45 vyhlášky č. 376/2011 Sb., kterou se provádějí některá ustanovení zákona o veřejném zdravotním pojištění, ve znění do 31. 12. 2025, jsou všechny klíčové důkazy, na nichž je ve farmakoekonomickém hodnocení odkazováno, Ústavu předkládány v plném znění (metodika SP-CAU-028 bod 6.7.), v opačném případě není možné farmakoekonomické hodnocení považovat za přezkoumatelné. Ústav požaduje předložení veškeré dokumentace, ze které vychází provedené hodnocení v takové podobě, aby bylo možno přezkoumat správnost učiněných předpokladů. Ústav uvádí, že taktéž data, která jsou předložena v režimu obchodního tajemství by měla být Ústavem přezkoumatelná, tedy dohledatelná v žadatelem předloženém zdroji.

Takovými dokumenty či zdroji, jejichž nepředložení znemožňuje plnou přezkoumatelnost podání žadatele, jsou zejména dokumenty či zdroje, odkud byly převzaty obrázky a čerpány údaje vstupující do modelu uvedené v níže uvedených tabulkách:

- Tabulka 31, 75 (pouze v části OT) *Weight distribution of patients*
- Tabulka 34 *IPSS-R risk group distribution of TI patients*
- Tabulka 42 (pouze v části OT) *Response rate*
- Tabulka 48 *Destination Health State Distributions Immediately After Loss of Response*
- Tabulka 64 *Annual Frequencies of Routine Monitoring of LR MDS patients*
- Tabulka 76 (v části *Percent Receiving*) *Distribution of Dosing*
- Tabulka 78 *Distribution of Chelators among Patients*
- Tabulka 94 *RBC transfusion costs in MDS states per year*
- Obrázek 18 *Cumulative duration of response (RBC-TI  $\geq$  8 weeks)*
- Obrázek 19 *Observed time on treatment with luspatercept + BSC from Week 25 onwards*
- Obrázek 20 *Kaplan-Meier Curves of Overall Survival in Patients with MDS - MEDALIST 1July2019 cut-off*

**S ohledem na výše uvedené Ústav požaduje předložení výše uvedených dokumentů či zdrojů, odkud byly převzaty obrázky a čerpány údaje vstupující do modelu.**

Ústav žádá o předložení reference „VILP REBLOZYL registry“ citováno pod číslem 33 „*Institut biostatistiky a analýz. Analytický report registru VILP: přípravek REBLOZYL (Iuspatercept)*, aby bylo možno přezkoumat podání žadatele – zejména váhu a věk pacientů vstupujících do modelu.

Ústav dále žádá o předložení reference „MDS epidemiology data published by Czech Institute of Health Information and Statistics (ÚZIS)“ citováno pod číslem 34. Odkaz není funkční a Ústavu se nepodařilo dohledat odkazovanou webovou stránku.

### 3. Vstupní data do modelace – váha, věk a zastoupení mužů

**Žadatel použil hodnoty váhy a věku ze studie MEDALIST<sup>1</sup>, Ústav preferuje použití dat z registru na českých pacientech. Ústav žádá o použití dat věku a váhy z registru pro základní scénář a pro alternativní scénář použití údajů z klinické studie.** Ústavu, avšak nebyla předložena data z registru citována žadatelem pod číslem 33, a tak nemůže hodnoty ověřit. Ústav našel z úřední činnosti v SR pod sp. zn. SUKLS281213/2024 report IBA (č. j. sukl281359/2024), který by mohl odpovídat referenci uvedené žadatelem pod číslem 33. **Ústav žádá o potvrzení, že se jedná o stejnou referenci nebo předložení dotčeného podkladu a o výše zmíněné změny v základním a alternativním scénáři.**

Ústav také žádá o úpravu vstupního parametru zastoupení mužů. Žadatel v tabulce 30 strukturovaného podání uvažuje vstupní populaci do modelu s 50% zastoupením mužů (označené jako reference č. 34). Ve studii MEDALIST byla populace se zastoupením 63 % mužů a rovněž jsou dostupné údaje z registru IBA. **Ústav žádá o podílu mužů z registru pro základní scénář a pro alternativní scénář o použití dat z podkladové studie (63 % mužů).**

### 4. Data o účinnosti

#### Přechodové pravděpodobnosti v 1. roce

Žadatel uvádí, že zdrojem dat pro výpočet pravděpodobností přechodu v tabulkách 49, 50, 51 a 52 mezi jednotlivými zdravotními stavy modelu pochází ze studie MEDALIST<sup>1</sup>. Postup výpočtu pravděpodobností přechodu byl sice žadatelem popsán, nicméně z předloženého podání není zřejmé, z jakých dat o počtech pacientů pro jednotlivé stavy a v jakých časových intervalech tato kalkulace vychází.

**Ústav žádá o předložení všech zdrojových dat použitých k výpočtům a způsob výpočtu přechodových pravděpodobností tak, aby vstupy do modelu byly přezkoumatelné.**

#### Přechodové pravděpodobnosti po 1. roce

Žadatel uvádí, že zdrojem dat pro výpočet pravděpodobností přechodu v tabulkách 53, 54, 55 a 56 mezi jednotlivými zdravotními stavy pochází z extenze studie MEDALIST s datem sběru dat k 1. červenci 2019<sup>2</sup>. Postup výpočtu pravděpodobností přechodu byl sice žadatelem popsán, nicméně z předloženého podání není zřejmé, z jakých dat o počtech pacientů pro jednotlivé stavy a v jakých časových intervalech tato kalkulace vychází.

**Ústav žádá o předložení všech zdrojových dat použitých k výpočtům a způsob výpočtu přechodových pravděpodobností tak, aby vstupy do modelu byly přezkoumatelné.**

### 5. Extrapolace

#### Celkové přežití ve stavu MDS po uplynutí 1 roku

Údaje o celkovém přežití ve stavu MDS žadatel čerpal ze studie MEDALIST a sběru dat k 1. červenci 2019<sup>2</sup>. Ústav konstatuje, že data celkového přežití (OS) jsou nezralá, přičemž ani v jednom rameni nebyl dosažen medián OS, a zlepšení v tomto parametru nebylo statisticky signifikantní, viz tabulka 23 strukturovaného podání, kde HR (95 % CI) OS představovalo 0,763 (0,318, 1,829). Na základě toho je extrapolace prezentovaných KM křivek OS obou ramen velmi nejistá a celkové přežití v ramenu Iuspaterceptu (LST) může být nadhodnoceno. Dále Ústav konstatuje, že medián doby na léčbě je zhruba 1,5 roku a nelze s jistotou očekávat profit v celkovém přežití v dlouhodobém

horizontu s odstupem po ukončení léčby luspaterceptem. V rámci posouzení agenturou CADTH<sup>3</sup> byla rovněž zkonstatována jako zásadní limitace nejistota ve vztahu k datům OS.

**Ústav proto považuje za vhodné představit základní scénář, ve kterém nebude uvažován žádný inkrementální přínos v parametru OS nebo modelovat OS křivku MDS na novějších datech, který přínos v parametru OS hodnocené intervence prokazují.**

#### **6. Modelace incidence AML (akutní myeloidní leukemie) po uplynutí 1 roku od zahájení léčby**

Incidence AML byla žadatelem modelována na základě dat z publikace Greenberg et al., 2012<sup>4</sup>. Výsledné křivky incidence AML byly extrapolovány na celoživotní časový horizont. V základním scénáři byla zvolena extrapolace pomocí funkce Gompertz, která figuruje na 3. místě dle statistické shody dle AIC/BIC kritérií. Hodnota statistické shody je blízká hodnotě statistické shody loglogistické parametrické funkce na 2.místě. Nejlepší shodu dle AIC/BIC kritérií vykazuje lognormální parametrická funkce, která má výrazněji lepší shodu oproti výše uvedených parametrických funkcím na 2. a 3. místě, přičemž výsledná hodnota ICER při použití lognormální funkce je dle analýzy scénářů konzervativnější. Použití lognormální funkce bylo testováno v analýze scénářů.

**Ústav žádá o použití lognormální funkce pro extrapolaci incidence AML po uplynutí 1 roku od zahájení léčby v základním scénáři.**

#### **7. Náklady**

##### Farmaceutické náklady

V analýze žadatel uvažoval náklady na LP REBLOZYL ve výši 30 008,83 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249644) a 90 026,49 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249645). Ústav žádá o aktualizaci nákladů na LP REBLOZYL dle aktuálních cenových referencí nalezených Ústavem ve výši 24 108,86 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249644) a 72 326,57 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249645).

Dále žadatel uvažoval náklady na transfúzní přípravek Erytrocyty deleukotizované (pro kód IPLP 0007955) 3 151,10 Kč/jednotka. Ústav žádá o aktualizaci nákladů dle OOP 02-26 ve výši 3 231,98 Kč/jednotka.

##### Aktualizace nákladů pro rok 2026

Ústav dále požaduje, aby žadatel provedl aktualizaci úhradových parametrů nákladů (hodnotu bodu i počet bodů tabulky 63, 71, 73, 91, 92, 93 a navázané výpočty) dle platného znění Úhradové vyhlášky pro rok 2026 (vyhláška č. 432/2025 Sb.), účinného od 1. 1. 2026, a aktualizaci podle Klasifikačního systému CZ-DRG 2026. Dále žádá, aby tyto změny transparentně promítl do všech relevantních výpočtů analýzy nákladové efektivity.

#### **8. Analýza senzitivity**

Ústav požaduje doložit výsledek scénáře „Patients in the HR MDS state are assumed to be in IPSS-R Very high risk group“, který v analýzách scénářů nedohledal.

Dále Ústav požaduje předložit aktualizovanou analýzu senzitivity k upravenému základnímu scénáři dle požadavků výše ve stejném rozsahu jako v původním podání a doplnění scénářů požadovaných výše.

## **II. ANALÝZA DOPADU NA ROZPOČET**

### **1. Počet pacientů**

Žadatel ponížil celkový počet pacientů vstupujících do analýzy dopadu na rozpočet o pacienty, u kterých očekává stanovení úhrady luspaterceptu v léčbě první linie v probíhajícím správním řízení pod sp. zn. SUKLS340547/2025. Ústav nemůže předjímat výsledek tohoto správného řízení, **a tak požaduje v základním scénáři počet pacientů neponižovat. Scénář zahrnující předpoklad stanovení úhrady v léčbě první linie Ústav požaduje představit v alternativním scénáři.**

## 2. Náklady

Ústav žádá o zohlednění změn požadovaných v analýze nákladové efektivity i v rámci hodnocení dopadu na rozpočet.

Ústav požaduje vysvětlit, jakým algoritmem byly kalkulovány náklady ve světě bez hodnocené intervence po 2.-5. rok. Ústavu se podařilo přezkoumat náklady ve světě s hodnocenou intervencí (přepočty Ústavu shodují s kalkulacemi žadatele), ale nikoliv ve světě bez hodnocené intervence.

Žadatel postupoval v kalkulaci 1. roku analýzy ve světě s hodnocenou intervencí u pokračujících pacientů z předchozích let (období platnosti dočasné úhrady) byly násobeny náklady odpovídajícími délkou jejich léčby:

60 pacientů zahájilo léčbu v roce -3 → žadatel aplikoval náklady 5. roku léčby

45 pacientů zahájilo léčbu v roce -2 → žadatel aplikoval náklady 4. roku léčby

47 pacientů zahájilo léčbu v roce -1 → žadatel aplikoval náklady 3. roku léčby

50 pacientů zahájilo léčbu v roce 0 → žadatel aplikoval náklady 2. roku léčby

K nákladům na pokračující pacienty (viz výše) přičítal náklady na nově indikované pacienty v 1.roce. V dalších letech analýzy žadatel postupoval obdobně.

Při aplikování stejného postupu ve světě bez hodnocené intervence se přepočet Ústavu a žadatele liší.

**Ústav žádá žadatele za účelem přezkoumatelnosti o detailní popis metodiky výpočtu nákladů v jednotlivých letech ve světě bez hodnocené intervence, a objasnění, jaké náklady jsou přiřazovány pokračujícím pacientům v jednotlivých letech, případně o úpravu použitého algoritmu.**

## 3. Analýza senzitivity

Ústav žádá o předložení aktualizované analýzy senzitivity dle požadavků Ústavu výše.

### Reference:

1. Fenaux, P. *et al.* Luspatercept in Patients with Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes. *N Engl J Med* **382**, 140–151 (2020).
2. Fenaux, P. *et al.* Assessment of Longer-Term Efficacy and Safety in the Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled MEDALIST Trial of Luspatercept to Treat Anemia in IPSS-R Very Low-, Low-, or Int-Risk RBC Transfusion-Dependent MDS with Ring Sideroblasts. [Online] 2019. [Citace: 27. 4. 2026.] <https://acceleronpharma.com/wp-content/uploads/2019/12/ASH-2019-MEDALIST-long-term-analysis-Fenaux-oral-7-Dec-2019V2.pdf>.
3. CADTH [Online] [Citace: 27. 4. 2026]. SR0670 Reblozyl - Draft CADTH Recommendation for posting August 12, 2021.pdf.
4. Greenberg, P. L. *et al.* Revised International Prognostic Scoring System for Myelodysplastic Syndromes. *Blood* **120**, 2454–2465 (2012).



Vyvěšeno dne: 30. 4. 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“), v souladu s tímto zákonem a s ustanoveními zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „správní řád“) vydává toto

## USNESENÍ

kterým společnosti:

### **Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG**

IČ: 800030

Blanchardstown Corporate Park 2, D15 T867 Dublin  
Irsko

*Zastoupena:*

**Bristol-Myers Squibb spol. s r.o.**

IČ: 43004351

Budějovická 778/3, 140 00 Praha 4

(dále jen „Bristol-Myers“)

**jako účastníkovi správního řízení vedeného pod sp. zn. SUKLS542510/2025 stanovuje v souladu s ustanovením § 39 odst. 1 správního řádu lhůtu 10 dní ode dne doručení tohoto usnesení k poskytnutí podkladů uvedených ve výzvě k součinnosti ze dne 30. 4. 2026.**

### Odůvodnění

**Dne 30. 12. 2025** obdržel Ústav žádost účastníka Bristol-Myers o stanovení výše a podmínek úhrady ze zdravotního pojištění léčivých přípravků:

Kód SÚKL	Název	Doplněk názvu
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS542510/2025.

Vzhledem k tomu, že Ústav nedisponuje všemi potřebnými podklady pro vydání rozhodnutí v tomto správním řízení, vyzval účastníka Bristol-Myers v souladu s ustanovením § 50 odst. 2 správního řádu k součinnosti spočívající v poskytnutí údajů potřebných pro rozhodnutí a určil mu přiměřenou lhůtu k poskytnutí podkladů uvedených ve

výzvě v souladu s ustanovením § 39 odst. 1 správního řádu. Tato lhůta byla stanovena v délce 10 dní, a to vzhledem ke lhůtám stanoveným zákonem o veřejném zdravotním pojištění pro správní řízení o stanovení výše a podmínek úhrady ze zdravotního pojištění léčivého přípravku. Pokud účastník řízení předpokládá nebo zjistí časovou náročnost na doložení požadovaných podkladů delší, nežli je výše stanovená lhůta, Ústav doporučuje využít institut přerušování řízení dle ustanovení § 64 odst. 2 správního řádu, díky kterému se staví lhůta pro vydání rozhodnutí.

### **Poučení o odvolání**

Proti tomuto usnesení je možno podat podle ustanovení § 76 odst. 5 správního řádu, u Ústavu odvolání, a to v souladu s ustanovením § 83 odst. 1 správního řádu ve lhůtě 15 dnů ode dne jeho doručení. Odvolání nemá odkladný účinek. O odvolání rozhoduje Ministerstvo zdravotnictví ČR.

Otisk úředního razítka

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