

Vyvěšeno dne: 20. 10. 2026

VÝZVA K SOUČINNOSTI POSKYTOVÁNÍ INFORMACÍ

Dne 2. 2. 2026 obdržel Státní ústav pro kontrolu léčiv se sídlem Šrobárova 49/48, 100 00 Praha 10 (dále jen „Ústav“), žádost o stanovení výše a podmínek první dočasné úhrady ze zdravotního pojištění léčivého přípravku:

kód SÚKL:	název:	doplňek názvu:
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML

(dále jen „ULTOMIRIS“)

podanou společností

Alexion Europe SAS

IČ: 484251046

103-105 rue Anatole France, 92300 Levallois-Perret,
Francouzská republika

Zastoupena:

AstraZeneca Czech Republic s.r.o.

IČ: 63984482

U Trezorky 921/2, 158 00 Praha 5

(dále jen „žadatel“)

podle ustanovení § 39d zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „zákon o veřejném zdravotním pojištění“).

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS53296/2026, 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

Všeobecná zdravotní pojišťovna České republiky

IČ: 41197518

Orlická 2020/4, 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

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

žadatele k součinnosti při opatřování podkladů pro vydání rozhodnutí spočívající v doplnění a předložení následujícího:

I. ANALÝZA NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY

1. Předložení farmakoekonomického modelu

Žadatel v analýze nákladové efektivity použil Markovův kohortový model, který byl předložen. S ohledem na komplexnost části požadovaných úprav a za účelem transparentnosti dílčích úprav modelu v jiných bodech (viz níže) Ústav požaduje za účelem přezkoumatelnosti předložení aktualizovaného funkčního modelu se zahrnutím úprav jeho nastavení dle bodů níže včetně aktualizace popisu vstupů/výstupů (výsledků) modelu (např. v podobě aktualizovaného strukturovaného podání) a analýzy senzitivity.

2. Komparátory, typ analýzy

Žadatel v rámci předmětného správního řízení předložil analýzu nákladové efektivity typu CUA ve srovnání s komparátorem nejlepší podpůrná péče (BSC) a současně alternativní analýzy typu CMA ve srovnání s komparátory pegcetakoplan (LP ASPAVELI) a iptakopan (LP FABHALTA).

Ústav na základě klinického hodnocení shromážděných podkladů dospěl k závěru, že dostupné klinické podklady svědčí o vyšší účinnosti ravulizumabu (RAV) oproti BSC v relevantních klinických ukazatelích. Při zohlednění nejistot vyplývajících z absence přímého srovnání lze, na základě celkového klinického přínosu jednotlivých terapií a rozsáhlejších dlouhodobých dat pro RAV, akceptovat srovnatelnou účinnost a bezpečnost RAV oproti pegcetakoplanu a iptakopanu.

V návaznosti na výše uvedené závěry Ústav akceptuje použití analýzy typu CUA oproti komparátoru BSC, jejíž základní metodické nastavení bylo posuzováno již v předchozích správních řízeních vedených pod sp. zn. SUKLS329859/2019 a SUKLS159868/2022 a jejíž aktualizovaná verze byla předložena v rámci tohoto správního řízení.

Současně Ústav akceptuje alternativní srovnání analýzy typu CMA vůči přípravkům pegcetakoplan a iptakopan. Tento přístup je založen na předpokladu srovnatelného klinického přínosu jednotlivých terapeutických alternativ při léčbě PNH pro účely stanovení úhrady. Ústav však upozorňuje, že předložená nepřímá srovnání nepovažuje za dostatečně robustní podklad pro kvantifikaci rozdílů v relativní účinnosti a bezpečnosti mezi jednotlivými léčebnými režimy.

Z tohoto důvodu Ústav požaduje, aby byly v rámci analýz typu CMA důsledně uplatněny předpoklady odpovídající terapeutické ekvivalenci hodnocených intervencí a aby nebyly v modelu zachovány rozdíly v klinických parametrech, jejichž hodnota je odvozena z výsledků neakceptovaných nepřímých srovnání. Konkrétní připomínky k nastavení jednotlivých parametrů modelu jsou uvedeny níže.

3. Údaje o účinnosti a bezpečnosti

Žadatel v předložené CMA analýze předpokládá pro iptakopan shodnou pravděpodobnost výskytu průlomové hemolýzy (BTH) jako pro inhibitory C5 (ravulizumab), přičemž v případě analýzy CMA oproti pegcetoplanu sám žadatel v podání uvádí, že „z porovnání klinických dat vyplývá, že výskyt BTH událostí v dlouhodobém sledování je častější u pegcetacoplanu, a proto toto riziko představuje jeden z klíčových rozdílů, proč terapie zaměřená na C5 zůstává v tomto parametru nadřazená terapii zaměřené na C3 (pegcetacoplan)“. V modelu tak zůstávají zachovány rozdíly v některých parametrech odrážející kontrolu onemocnění, které mohou mít vliv na výsledky ekonomického hodnocení.

Ústav pro účely ekonomického hodnocení akceptuje srovnatelný klinický přínos ravulizumabu, iptakopanu a pegcetakoplanu. V souladu s tímto předpokladem požaduje Ústav, aby byly v základním scénáři nastaveny shodně parametry odrážející kontrolu onemocnění napříč všemi léčebnými režimy, zejména:

- pravděpodobnost průlomové hemolýzy (BTH),
- pravděpodobnost změny léčby související s výskytem BTH,
- pravděpodobnost přetížení železem,
- přechodové pravděpodobnosti související s léčebnou odpovědí,
- další parametry odrážející kontrolu onemocnění, pokud jejich rozdíly nejsou podloženy akceptovatelnými komparativními důkazy.

Současně Ústav požaduje předložení alternativního scénáře, ve kterém budou zachovány rozdíly ve výše uvedených parametrech vycházející z jednotlivých klinických studií, včetně vyhodnocení jejich vlivu na výsledky ekonomického hodnocení.

4. Náklady

S ohledem na existenci finančních ujednání u komparátorů pegcetakoplan (LP ASPAVELI) a iptakopan (LP FABHALTA) Ústav žádá o předložení dekrementální analýzy (odstupňované v krocích po 10 %) a uvedení nákladů na tyto léčivé přípravky odděleně.

Dále Ústav žádá o objasnění způsobu stanovení spotřeby ravulizumabu ve farmakoeconomickém modelu v analýze typu CMA, která se týká dospělé populace, a doložení, zda použité dávkování a hmotnostní distribuce pacientů vycházejí pouze z dospělé populace nebo ze společné populace dospělých a pediatrických pacientů. Vzhledem k tomu, že dávkování ravulizumabu je závislé na tělesné hmotnosti může dojít k umělému snížení nebo zvýšení nákladů pro hodnocenou intervenci.

II. ANALÝZA DOPADU NA ROZPOČET

1. Cílová populace a počty léčených pacientů

Žadatel odhad cílové populace převzal z předchozích správních řízení vedených pro LP ASPAVELI (sp. zn. SUKLS154847/2024) a LP FABHALTA (sp. zn. SUKLS311241/2024), přičemž vychází z údajů převzatých ze stanoviska České hematologické společnosti (ČHS) ČLS JEP (založeného dne 9. 8. 2024 pod č. j. SUKL199232/2024). Předložený odhad zahrnuje v prvním roce analýzy 45 prevalenčních pacientů a 8 incidentních pacientů ročně. Ústav však upozorňuje, že navrhované indikační omezení pro LP ULTOMIRIS zahrnuje pacienty s PNH od tělesné hmotnosti 10 kg, tedy i pediatrické pacienty. Na základě předložené analýzy se Ústav domnívá, že odhad prevalence a incidence zahrnuje pouze dospělé pacienty. **Ústav proto požaduje doplnit odhad cílové populace o pediatrické pacienty, případně doložit, že (a jakým způsobem) již byli do odhadu zahrnuti.**

Současně Ústav upozorňuje, že dávkování ravulizumabu je závislé na tělesné hmotnosti pacienta. **V případě zahrnutí pediatrických pacientů do cílové populace proto požaduje odpovídajícím způsobem upravit kalkulaci nákladů v analýze dopadu na rozpočet (roční náklady pro obě subpopulace uvést odděleně).** Náklady na léčbu mají být modelovány na základě relevantního rozložení pacientů do jednotlivých hmotnostních kategorií odpovídajících schválenému dávkovacímu schématu, nikoliv pouze na základě průměrné spotřeby odvozené z dospělé populace.

2. Terapeutický mix a rozdělení pacientů mezi léčebné režimy

Ačkoliv navrhované indikační omezení pro LP ULTOMIRIS zahrnuje také pediatrické pacienty od tělesné hmotnosti 10 kg, tak v žadatelem předložené analýze dopadu na rozpočet je modelován svět bez hodnocené intervence pro pacienty léčené přípravky pegcetakoplan a iptakopan, které nejsou pro tuto populaci indikovány, a ekulizumab, který se v reálné klinické praxi dle vyjádření ČHS (založeného dne 2. 3. 2026 pod č. j. sukl98612/2026)¹ užívá velmi omezeně nebo např. u těhotných nemocných.

Ústav proto požaduje upravit terapeutický mix v analýze dopadu na rozpočet tak, aby ve světě bez hodnocené intervence byli pediatričtí pacienti odpovídající navrhovanému indikačnímu omezení přiřazeni k BSC. Současně Ústav požaduje odpovídajícím způsobem upravit terapeutický mix ve světě s hodnocenou intervencí, ve kterém budou pediatričtí pacienti léčeni LP ULTOMIRIS a dospělí pacienti budou léčeni LP ULTOMIRIS, LP ASPAVELI nebo LP FABHALTA v příslušném poměrném zastoupení.

3. Výsledky

S ohledem na existenci finančních ujednání u léčivých přípravků pegcetakoplan (LP ASPAVELI) a iptakopan (LP FABHALTA) Ústav požaduje předložení dekrementální analýzy a oddělené uvedení nákladů na tyto léčivé přípravky v analýze dopadu na rozpočet.

III. Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet

Žadatel se v žádosti o stanovení 1. dočasné úhrady LP ULTOMIRIS v indikaci PNH ze dne 3. 2. 2026 (č. j. sukl53296/2026) v rámci farmakoeconomických analýz odkázal na správní řízení vedená Ústavem pod sp. zn. SUKLS329859/2019, SUKLS159868/2022 a SUKLS272249/2024 a žádal Ústav o obstarání všech potřebných podkladů, včetně podkladů v režimu obchodního tajemství, z uvedeného správního řízení. K tomu Ústav konstatuje, že dle ustanovení § 39d odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění musí žádost o stanovení dočasné úhrady splňovat náležitosti dle ustanovení § 39 f odst. 1 a 5 a § 39f odst. 6 tohoto zákona, mimo jiné tedy analýzu nákladové efektivity a dopadu na rozpočet, kterou **k žádosti žadatel přiloží**. Ústav tedy není povinen si obstarávat všechny potřebné podklady z jiných, již ukončených, správních řízení.

Vzhledem k výše uvedenému a rovněž s ohledem na komplexnost a rozsáhlost předchozích řízení Ústav žádá, aby žadatel předložil analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet se zohledněním aktualizovaných dat, které má Ústav v předmětném správním řízení posoudit se všemi podklady dle platných metodik^{2,3}.

Reference:

1. Odborné stanovisko ČHS ze dne 26. 2. 2026, které bylo založeno do spisu dne 2. 3. 2026 pod č. j. sukl98612/2026
2. Státní ústav pro kontrolu léčiv. SP-CAU-027 – Postup pro posuzování analýzy dopadu na rozpočet. <https://sukl.gov.cz/metodiky-stanoveni-cen-a-uhrad/sp-cau-027/>
3. Státní ústav pro kontrolu léčiv. SP-CAU-028 – Postup pro posuzování analýzy nákladové efektivity. <https://sukl.gov.cz/metodiky-stanoveni-cen-a-uhrad/sp-cau-028/>



Vyvěšeno dne: 20. 10. 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 pozdějších předpisů (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:

Alexion Europe SAS

IČ: 484251046

103-105 rue Anatole France, 92300 Levallois-Perret,

Francouzská republika

Zastoupena:

AstraZeneca Czech Republic s.r.o.

IČ: 63984482

U Trezorky 921/2, 158 00 Praha 5

(dále jen „Alexion“)

jako účastníkovi správního řízení vedeného pod sp. zn. SUKLS53296/2026 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 20. 10. 2026.

Odůvodnění

Dne 2. 2. 2026 obdržel Ústav žádost účastníka Alexion o stanovení výše a podmínek první dočasné úhrady ze zdravotního pojištění léčivého přípravku:

kód SÚKL:	název:	doplněk názvu:
0250232	ULTOMIRIS	300MG/3ML INF CNC SOL 1X3ML

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS53296/2026.

Vzhledem k tomu, že Ústav nedisponuje všemi potřebnými podklady pro vydání rozhodnutí v tomto správním řízení, vyzval účastníka Alexion 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 první dočasné 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 přerušení 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