



Vyvěšeno dne: 21. 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 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. 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 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

zahájeném dne **30. 12. 2025** na základě žádosti 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 „žadatel“ nebo „Bristol-Myers“)

vedeném pod sp. zn. SUKLS542510/2025, 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 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, 130 00 Praha 3

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.

IČ: 63830515

Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha Žižkov

(dále společně jen „Svaz“)

Všeobecná zdravotní pojišťovna České republiky

IČ: 41197518

Orlická 2020/4, 130 00 Praha 3

(dále jen „VZP“)

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

1. léčivý přípravek:

kód SÚKL: název:
0249644 REBLOZYL

doplňěk názvu:
25MG INJ PLV SOL 1

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 luspatercept;**

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 19 299,47 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. b), § 34 odst. 2 a § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb., kterou se provádějí některá ustanovení zákona o veřejném zdravotním pojištění, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „vyhláška č. 376/2011 Sb.“), mu **stanovuje podmínky úhrady ze zdravotního pojištění takto:**

S

P: Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Léčba je ukončena u pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu k 25. týdnu od zahájení terapie nebo při výskytu neakceptovatelné toxicity. Na případné přerušování léčby se tato kritéria nevztahují.

2. léčivý přípravek:

kód SÚKL: název:
0249645 REBLOZYL

doplňěk názvu:
75MG INJ PLV SOL 1

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 luspatercept;**

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 57 898,41 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. b), § 34 odst. 2 a § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. mu **stanovuje podmínky úhrady ze zdravotního pojištění takto:**

S

P: Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Léčba je ukončena u pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu k 25. týdnu od zahájení terapie nebo při výskytu neakceptovatelné toxicity. Na případné přerušování léčby se tato kritéria nevztahují.

Odůvodnění

Dne 30. 12. 2025 byla Ústavu doručena 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

(dále jen „LP REBLOZYL“)

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení o stanovení výše a podmínek úhrady, které Ústav vede pod sp. zn. SUKLS542510/2025.

Účastníci řízení v souladu s ustanovením § 39g odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění byli oprávněni navrhnout důkazy a činit jiné návrhy v průběhu 15 dnů ode dne zahájení řízení.

Tato lhůta byla dne 6. 1. 2026 usnesením č. j. sukl7723/2026 prodloužena do 21. 1. 2026. V této lhůtě Ústav neobdržel žádná podání účastníků řízení.

Dne 12. 2. 2026 Ústav vložil do spisu pod č. j. sukl67976/2026 cenové reference a další podklady pro stanovení výše úhrady. Tyto již nejsou relevantní.

Dne 30. 4. 2026 Ústav vydal výzvu k součinnosti spočívající v doplnění farmakoekonomických podkladů. Usnesením č. j. sukl157823/2026 stanovil účastníkovi Bristol-Myers k tomuto úkonu lhůtu 10 dní ode dne doručení usnesení.

Dne 6. 5. 2026 Ústav obdržel podání účastníka Bristol-Myers, č. j. sukl163003/2026, který s ohledem na časovou náročnost požadované aktualizace farmakoekonomických hodnocení žádá o přerušení předmětného správního řízení, a to na dobu 45 dnů nebo do předložení požadovaných farmakoekonomických podkladů, podle toho, která skutečnost nastane dříve.

Dne 7. 5. 2026 Ústav usnesením č. j. sukl163333/2026 předmětné správní řízení dle požadavku účastníka Bristol-Myers přerušil do 25. 6. 2026.

Dne 25. 6. 2026 Ústav pod č. j. sukl209665/2026, sukl209663/2026, sukl209664/2026, sukl209659/2026, sukl209824/2026 a sukl209661/2026 obdržel odpověď žadatele na výše uvedenou výzvu k součinnosti. Část odpovědi byla do spisu založena v režimu obchodního tajemství. Zároveň žadatel požádal o pokračování v předmětném správním řízení a zohlednění dodaných podkladů v hodnotící zprávě.

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

Dne 29. 6. 2026 Ústav vyrozuměl účastníky řízení, že ode dne 25. 6. 2026 pokračuje v předmětném správním řízení.

Dne 20. 7. 2026 Ústav pod č. j. sukl229189/2026 obdržel podání žadatele, ve kterém předložil výsledky farmakoekonomických analýz 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 19. 8. 2026 Ústav vydal hodnotící zprávu (HZ) pod č. j. sukl254772/2026, ve které po provedeném zhodnocení žádosti na základě posouzení shromážděných důkazů Ústav dospěl k závěru, že nebylo prokázáno, že LP REBLOZYL jsou v indikaci „léčba pacientů s anémií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS)

velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí“, nákladově efektivní intervencí. Ústav proto navrhl žádosti žadatele o stanovení úhrady uvedených léčivých přípravků nevyhovět a úhradu v požadované indikaci nepřiznat. Současně Ústav ukončil shromažďování podkladů pro rozhodnutí, o čemž byli účastníci informováni prostřednictvím sdělení č. j. sukl254780/2026. V souladu s ustanovením § 39g odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění jsou účastníci oprávněni vyjádřit se k podkladům pro rozhodnutí ve lhůtě 10 dnů ode dne doručení předmětného sdělení. V této lhůtě Ústav obdržel níže uvedené podání žadatele.

Dne 1. 9. 2026 Ústav pod č. j. sukl266611/2026 a sukl266645/2026 obdržel podání žadatele, ve kterém reaguje na výše uvedenou HZ. Žadatel uvádí, že upravil návrh výše úhrady LP REBLOZYL pro finanční ujednání se zdravotními pojišťovnami tak, aby rovněž probabilistický výsledek analýzy byl srovnatelný s poměrem nákladů a přínosů jiných již hrazených terapeutických intervencí. 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 4. 9. 2026 Ústav vydal druhou hodnotící zprávu (2.HZ) pod č. j. sukl269643/2026, ve které po provedeném zhodnocení žádosti na základě posouzení shromážděných důkazů Ústav dospěl k závěru, že nebylo prokázáno, že LP REBLOZYL jsou v indikaci „léčba pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí“, nákladově efektivní intervencí. Ústav proto navrhl žádosti žadatele o stanovení úhrady uvedených léčivých přípravků nevyhovět a úhradu v požadované indikaci nepřiznat. Současně Ústav ukončil shromažďování podkladů pro rozhodnutí, o čemž byli účastníci informováni prostřednictvím sdělení č. j. sukl269647/2026. V souladu s ustanovením § 39g odst. 5 zákona o veřejném zdravotním pojištění jsou účastníci oprávněni vyjádřit se k podkladům pro rozhodnutí ve lhůtě 10 dnů ode dne doručení předmětného sdělení. V této lhůtě Ústav obdržel níže uvedené podání žadatele.

Dne 7. 9. 2026 Ústav obdržel pod č. j. sukl271993/2026 podání žadatele, ve kterém informuje Ústav, že byla zahájena příslušná jednání s plátcem zdravotní péče, a to se záměrem následného uzavření smluvních ujednání.

Dne 29. 9. 2026 a 30. 9. 2026 Ústav pod č. j. sukl291065/2026 a č. j. sukl292597/2026 obdržel podání žadatele obsahující doložení smluv uzavřených se zdravotními pojišťovnami.

Dne 30. 9. 2026 Ústav pod č. j. sukl293097/2026 obdržel podání účastníka VZP, ve kterém informuje Ústav, že uzavřela se žadatelem smluvní ujednání zajišťující nákladovou efektivitu LP REBLOZYL.

Dne 1. 10. 2026 Ústav pod č. j. sukl293775/2026 obdržel podání žadatele, ve kterém předkládá smlouvy o limitaci nákladů na posuzované léčivé přípravky.

Dne 5. 10. 2026 Ústav pod č. j. sukl296230/2026 obdržel podání žadatele, ve kterém předkládá další smlouvy o limitaci nákladů na posuzované léčivé přípravky.

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

Dne 7. 10. 2026 Ústav vložil do spisu pod č. j. sukl298463/2026 aktualizované cenové reference a další podklady pro stanovení výše úhrady.

Dne 16. 10. 2026 Ústav vydal třetí hodnotící zprávu (3.HZ), č. j. sukl307120/2026, ve které navrhl stanovit úhradu LP REBLOZYL v indikaci léčba dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku MDS velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí. Zároveň Ústav ukončil shromažďování podkladů pro rozhodnutí a o této skutečnosti informoval všechny účastníky řízení prostřednictvím sdělení o ukončení zjišťování podkladů, č. j. sukl307131/2026 ze dne 16. 10. 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.

V této lhůtě Ústav obdržel následující podání účastníků řízení.

Dne 19. 10. 2026 Ústav obdržel pod č. j. sukl308548/2026 podání žadatele, kterým se vzdává svého práva na vyjádření se ke 3. HZ.

Dne 20. 10. 2026 Ústav pod č. j. sukl309865/2026 a č. j. sukl309973/2026 obdržel podání účastníka Svaz a VZP, ve kterých se vzdávají svého práva na vyjádření se ke 3.HZ.

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

Ústav shromáždil pro rozhodnutí zejména tyto podklady:

1. SmPC LP REBLOZYL. SÚKL: Databáze registrovaných léčivých přípravků [9. 4. 2026]. Dostupné z: https://prehledy.sukl.cz/prehled_leciv.html#/.
2. Rozhodnutí ve správním řízení o stanovení výše a podmínek druhé dočasné úhrady LP REBLOZYL vedeném pod sp. zn. SUKLS74746/2024 ze dne 12. 8. 2024, které nabylo právní moci dne 10. 9. 2024.
3. Greenberg, P. L. et al. NCCN Guidelines® Insights: Myelodysplastic Syndromes, Version 3.2026. <https://doi.org/10.6004/jnccn.2025.0013> (2026) doi:10.6004/jnccn.2025.0013.
4. Česká hematologická společnost ČLS JEP. Červená kniha – léčebné postupy v hematologii. Aktualizace 2023. MDS. Dostupné z: <https://www.hematology.cz/cervena-kniha-lecebne-postupy-v-hematologii/>.
5. Hoff, F. W., Chung, S. S., Zeidan, A. M. & Madanat, Y. F. Management of Anemia in Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes/Neoplasms With Novel Agents. JCO Oncol. Pract. 22, 961–967 (2026).
6. Greenberg, P. L. et al. Revised International Prognostic Scoring System for Myelodysplastic Syndromes. Blood 120, 2454–2465 (2012).
7. Khoury, J. D. et al. The 5th edition of the World Health Organization Classification of Haematolymphoid Tumours: Myeloid and Histiocytic/Dendritic Neoplasms. Leukemia 36, 1703–1719 (2022).
8. Brunner, A. M., Leitch, H. A., van de Loosdrecht, A. A. & Bonadies, N. Management of patients with lower-risk myelodysplastic syndromes. Blood Cancer J. 12, 166 (2022).
9. Stanovisko ČHS ze dne 9. 1. 2025, sp. zn. SUKLS281213/2024, č.j. sukl11888/2025.
10. Garcia-Manero, G. Myelodysplastic syndromes: 2023 update on diagnosis, risk-stratification, and management. Am. J. Hematol. 98, 1307–1325 (2023).
11. Fenaux, P. et al. Luspatercept in Patients with Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes. N. Engl. J. Med. 382, 140–151 (2020).
12. Santini V et al., Long-Term Evaluation of Luspatercept in Erythropoiesis-Stimulating Agent (ESA)-Intolerant/Refractory Patients (pts) with Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes (LR-MDS) in the Phase 3 MEDALIST Study. Blood 2023, dostupné z: <https://ashpublications.org/blood/article/142/Supplement%201/915/502936/Long-Term-Evaluation-of-Luspatercept-in>.

13. Platzbecker, U. et al. Long-term utilization and benefit of luspatercept in transfusion-dependent, erythropoiesis-stimulating agent-refractory or -intolerant patients with lower-risk myelodysplastic syndromes with ring sideroblasts. *Leukemia* 37, 2314–2318 (2023).
14. Analytický report registru VILP: přípravek REBLOZYL (luspatercept), 2024, založeno ve spise s podklady žadatele.
15. WHO Collaboratin Centre for DRug Statistics Methodology, 2026, DDD luspatercept, dostupné z: https://atcddd.fhi.no/atc_ddd_index/?code=B03XA06.
16. 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.
17. Oran, B. & Weisdorf, D. J. Survival for older patients with acute myeloid leukemia: a population-based study. *Haematologica* 97, 1916–1924 (2012).
18. Stauder, R. et al. Health-related quality of life in lower-risk MDS patients compared with age- and sex-matched reference populations: a European LeukemiaNet study. *Leukemia* 32, 1380–1392 (2018).
19. Levy, A. R. et al. Cost-effectiveness in Canada of azacitidine for the treatment of higher-risk myelodysplastic syndromes. *Curr. Oncol.* 21, 29 (2014).
20. McKenzie, L. & Van Der Pol, M. Mapping the EORTC QLQ C-30 onto the EQ-5D Instrument: The Potential to Estimate QALYs without Generic Preference Data. *Value Health* 12, 167–171 (2009).
21. Kornblith, A. B. et al. Impact of Azacytidine on the Quality of Life of Patients With Myelodysplastic Syndrome Treated in a Randomized Phase III Trial: A Cancer and Leukemia Group B Study. *J. Clin. Oncol.* 20, 2441–2452 (2002).
22. Consagra, A. et al. Response to luspatercept can be predicted and improves overall survival in the real-life treatment of LR-MDS. *HemaSphere* 9, e70086 (2025).
23. Aktualizované cenové reference a další podklady pro stanovení úhrady založené do spisu dne 7. 10. 2026 pod č. j. sukl298463/2026.

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

HODNOCENÍ KLINICKÉHO PŘÍNOSU

Charakteristika léčivého přípravku

Luspatercept (LST) je rekombinantní fúzní protein, který působí na maturaci erytroidních buněk a obnovuje efektivní erytropoézu.¹

Indikace a cílová populace posuzované v tomto správním řízení

Je žádáno o stanovení trvalé úhrady v indikaci:

- léčba dospělých pacientů s anémií závislou na transfuzích v důsledku MDS (myelodysplastických syndromů) velmi nízkého, nízkého a středního rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erytropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Posuzovaná indikace je registrovanou indikací LP REBLOZYL¹.

Ústav doplňuje, že LST je v současné době hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění v režimu druhé dočasné úhrady na základě rozhodnutí ve správním řízení vedeném pod sp. zn. SUKLS74746/2024² v indikaci anemie závislé na transfuzích v důsledku:

- MDS velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erytropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.
- beta-thalasemie (BT)

Indikace BT není předmětem posouzení v tomto správním řízení.

Postavení posuzovaného léčivého přípravku v klinické praxi

Charakteristika onemocnění

MDS je heterogenní skupina klonálních onemocnění krvetvorby vyskytující se především ve vyšším věku (medián diagnózy přibližně 70 let) nebo po cytotoxické terapii. Toto onemocnění je charakterizované narušenou hematopoézou vedoucí k cytopenii. Jedná se o **preleukemický stav, který se ve 25-35 % případů vyvine v akutní myeloidní leukemii (AML)**. Klinická manifestace onemocnění je velmi variabilní v závislosti na subtypu MDS. **Nejčastěji se MDS prezentuje anemií (více než 85 % případů)**. U části pacientů (cca 40 %) s anemií jsou **pro korekci anemie nutné pravidelné transfuze**. V důsledku leukopenie a neutropenie jsou pacienti zatíženi různými bakteriálními a virovými infekcemi. Trombocytopenie má za následek krvácivé projevy³⁻⁵.

Pacienti s MDS velmi nízkého, nízkého a středního rizika mají medián celkového přežití v rozmezí 8,8 – 3 roky⁶.

Tab. Celkové přežití a riziko progresu do AML dle jednotlivých kategorií IPSS-R⁶

	No. of patients	Very low	Low	Intermediate	High	Very high
Patients, %	7012	19	38	20	13	10
Survival, all*		8.8 (7.8-9.9)	5.3 (5.1-5.7)	3.0 (2.7-3.3)	1.6 (1.5-1.7)	0.8 (0.7-0.8)
Hazard ratio (95% CI)		0.5 (0.46-0.59)	1.0 (0.93-1.1)	2.0 (1.8-2.1)	3.2 (2.9-3.5)	8.0 (7.2-8.8)
Patients, %	6485	19	37	20	13	11
AML/25%*†		NR (14.5-NR)	10.8 (9.2-NR)	3.2 (2.8-4.4)	1.4 (1.1-1.7)	0.73 (0.7-0.9)
Hazard ratio (95% CI)		0.5 (0.4-0.6)	1.0 (0.9-1.2)	3.0 (2.7-3.5)	6.2 (5.4-7.2)	12.7 (10.6-15.2)

NR indicates not reached.

*Medians, years (95% CI), $P < .001$.

†Median time to 25% AML evolution (95% CIs), $P < .001$.

Dle nové klasifikace WHO se MDS označují jako myelodysplastické novotvary. Jednotky MDS jsou rozlišovány dle genetických abnormalit nebo definované morfologicky⁷.

Tab. WHO klasifikace MDS z roku 2022⁷

	Blasts	Cytogenetics	Mutations
MDS with defining genetic abnormalities			
MDS with low blasts and isolated 5q deletion (MDS-5q)	<5% BM and <2% PB	5q deletion alone, or with 1 other abnormality other than monosomy 7 or 7q deletion	
MDS with low blasts and <i>SF3B1</i> mutation ^a (MDS-SF3B1)		Absence of 5q deletion, monosomy 7, or complex karyotype	<i>SF3B1</i>
MDS with biallelic <i>TP53</i> inactivation (MDS-biTP53)	<20% BM and PB	Usually complex	Two or more <i>TP53</i> mutations, or 1 mutation with evidence of <i>TP53</i> copy number loss or cnLOH
MDS, morphologically defined			
MDS with low blasts (MDS-LB)	<5% BM and <2% PB		
MDS, hypoplastic ^b (MDS-h)			
MDS with increased blasts (MDS-IB)			
MDS-IB1	5–9% BM or 2–4% PB		
MDS-IB2	10–19% BM or 5–19% PB or Auer rods		
MDS with fibrosis (MDS-f)	5–19% BM; 2–19% PB		

^aDetection of $\geq 15\%$ ring sideroblasts may substitute for *SF3B1* mutation. Acceptable related terminology: MDS with low blasts and ring sideroblasts.

^bBy definition, $\leq 25\%$ bone marrow cellularity, age adjusted.

BM bone marrow, PB peripheral blood, cnLOH copy neutral loss of heterozygosity.

Nová klasifikace MDS již neobsahuje morfolgickou jednotku definovanou prstenčitými sideroblasty. WHO 2022 zavedla kategorii MDS-SF3B1 jako geneticky definovanou jednotku a tím nahradila dřívější morfolgickou jednotku MDS s prstenčitými sideroblasty. Přítomnost mutace v genu SF3B1 a nízký počet blastů se považuje za znak odpovídající diagnóze MDS (MDS-SF3B1) a nahrazuje dřívější entitu MDS s prstencovitými sideroblasty (MDS-RS). Nedávné studie identifikovaly MDS-SF3B1 jako samostatný typ onemocnění, který zahrnuje více než 90 % MDS s ≥ 5 % prstenčitých sideroblastů, průkaz mutace SF3B1 je možné nahradit nálezem ≥ 15 % prstenčitých sideroblastů.⁷ V původní klasifikaci z roku 2016 spadala posuzovaná indikace do jednotky MDS-RS (MDS s prstenčitými sideroblasty s dysplazií v jedné nebo více řadách).

Vzhledem k velmi heterogenní prognóze pacientů s MDS je pro **volbu terapeutické strategie** důležitá **stratifikace rizika na základě prognostického systému**. Pro zhodnocení prognózy a přežití pacientů je používán prognostický skórovací **systém IPSS- („International Prognostic Scoring System Revised“**, viz tab. níže). IPSS-R zařazuje pacienty do pěti kategorií rizika (velmi nízké až velmi vysoké) na základě prognózy vývoje onemocnění (dle cytogenetických abnormalit, cytopenie a počtu blastů) s rozdílnou dobou přežití pacientů a dobou progresse onemocnění do AML. Většina pacientů s MDS má onemocnění s nízkým rizikem⁶.

Tab. IPSS-R prognostický skórovací systém

Parametr/skóre	0	0.5	1	1.5	2	3	4
Cytogenetika (Karyotyp)	velmi dobrý		dobrý		střední	nepříznivý	velmi nepříznivý
Blasty ve dřeni (%)	≤ 2		$>2-<5$		5-10	>10	
Hb (g/l)	≥ 100		80-<100	<80			
Trombocyty ($\times 10^9/l$)	≥ 100	50-100	< 50				
Neutrofily ($\times 10^9/l$)	≥ 0.8	< 0.8					

Tab. Kategorie rizika dle IPSS-R⁶

Risk category	Risk score
Very low	≤ 1.5
Low	$> 1.5-3$
Intermediate	$> 3-4.5$
High	$> 4.5-6$
Very high	> 6

Pro upřesnění rizika nemocných s MDS byl v roce 2022 publikován Molekulární prognostický skórovací systém (IPSS-M). Skóre je vypočteno z počtu blastů v kostní dřeni, hodnoty Hb, počtu trombocytů, kategorie IPSS-R a dále z vyšetření 16 prediktivních genů a 15 přidatných genů. Výsledkem je rozdělení nemocných podle rizika do 6 podskupin (velmi nízké, nízké, nižší střední, vyšší střední, vysoké, velmi vysoké). Praktickým významem IPSS-M je lepší stratifikace nemocných se středním rizikem a přesun nemocných s prokázanými nepříznivými mutacemi genů do vyšších rizikových skupin a k indikaci intenzivní léčby včetně SCT.⁴

Pacienty s MDS lze obecně klasifikovat jako pacienty s nižším rizikem (LR-MDS, zahrnující pacienty s velmi nízkým, nízkým a středním $\leq 3,5$ rizikem dle IPSS-R) nebo vyšším rizikem (HR-MDS, střední riziko se skórem $> 3,5$ bodu, vysoké a velmi vysoké riziko).⁸

Pacienti s LR-MDS jsou zatíženi především **příznaky chronické anémie (únava, dušnost, nevýkonnost) a transfuzní závislostí, nikoliv progresí onemocnění do AML nebo vyššího stupně MDS**. Přítomnost chronické anémie a

komplikací spojených s cytopenií, zatížení transfuzemi (přetížení železem s možným následným orgánovým poškozením) a celkovým zánětlivým stavem organismu významně negativně ovlivňují závažnost komorbidních stavů, snižují kvalitu života a zvyšují mortalitu těchto pacientů ve srovnání s obecnou populací.^{8,9}

Pacienti s **LR-MDS mají oproti více rizikovým formám MDS relativně nízké riziko smrti** a obecně mají prodlouženou celkovou dobu přežití (OS), pokud je přítomna mutace SF3B1 a je izolovaná nebo přinejmenším nesouvisí se špatnou prognózou, jak tomu u jiných mutací např. TP53¹⁰.

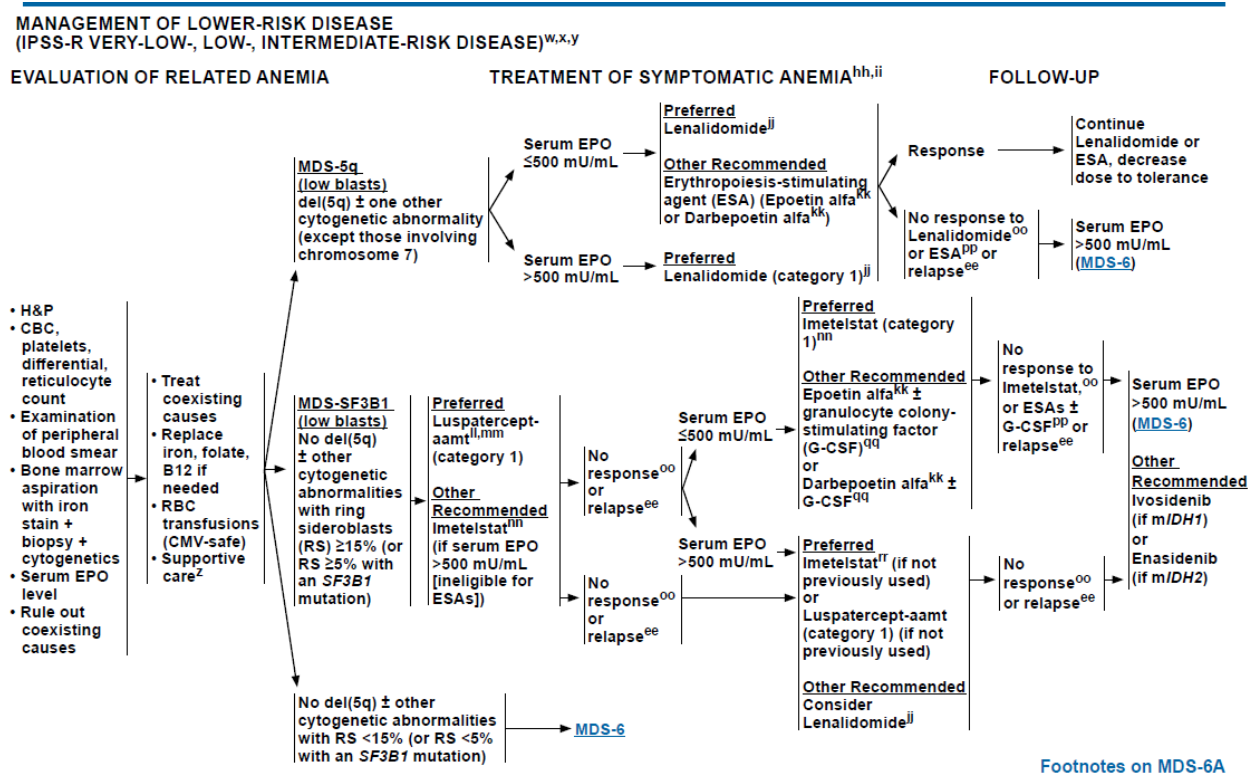
Postavení přípravku v managementu léčby

Cílem léčby u MDS s velmi nízkým, nízkým a středním rizikem a transfuzní závislostí je dle českých doporučení korekce anemie, snížení poškození orgánů ischemií a zlepšení kvality života⁴. Jedinými dostupnými léčebnými postupy, které snižovaly potřebu transfuzí a zlepšovaly přežití pacientů s MDS s velmi nízkým, nízkým a středním rizikem, jsou **léčivé přípravky s obsahem faktorů stimulujících erythropoézu (ESAs)**, které stimulují kostní dřeň k tvorbě červených krvinek (LP BINOCRIT, EPREX, NEORECORMON, EPORATIO, RETACRIT s obsahem erythropoetinu, LP ARANESP s obsahem darbepoetinu alfa). Léčba ESAs je dle českých doporučení indikována u nemocných s hladinou Hb < 90 g/l nebo vyššími hodnotami při manifestních příznacích anémie, hladinou EPO v séru < 500 IU/l (přičemž maximální efekt lze očekávat u nemocných s hladinou EPO < 150-200 IU/l) a s dependencí na < 2 TU erytrocytů měsíčně. Existují však značné rozdíly v kvalitě odpovědi (30-60 %) a délce trvání odpovědi (1-2 roky). Nevýhodou ESAs je, že pacienti nakonec přestanou na tuto léčbu reagovat (obvykle léčba přestává fungovat po 12–18 měsících). Pokud není do 8 týdnů dosaženo léčebné odpovědi, je možno původní dávku ESAs kombinovat s **G-CSF (granulopoézu stimulující protein)**. Pokud není zaznamenán terapeutický efekt po dalších 4-8 týdnech, má být léčba ukončena.

V druhé linii léčby je při selhání ESAs u pacientů s prstenčitými sideroblasty v současné době indikován LST.

Aktuální mezinárodní doporučení NCCN uvádí použití LST i v první linii jako preferenční volbu léčby LR-MDS³. V druhé linii léčby je u pacientů s MDS (bez mutace del(5q)) a prstenčitými sideroblasty/mutací SF3B1 indikován LST.

Obr. Management u MDS nízkého rizika dle NCCN



Rovněž klinická doporučení Evropské společnosti pro onkologii (ESMO) uvádí LST v druhé linii léčby LR-MDS:

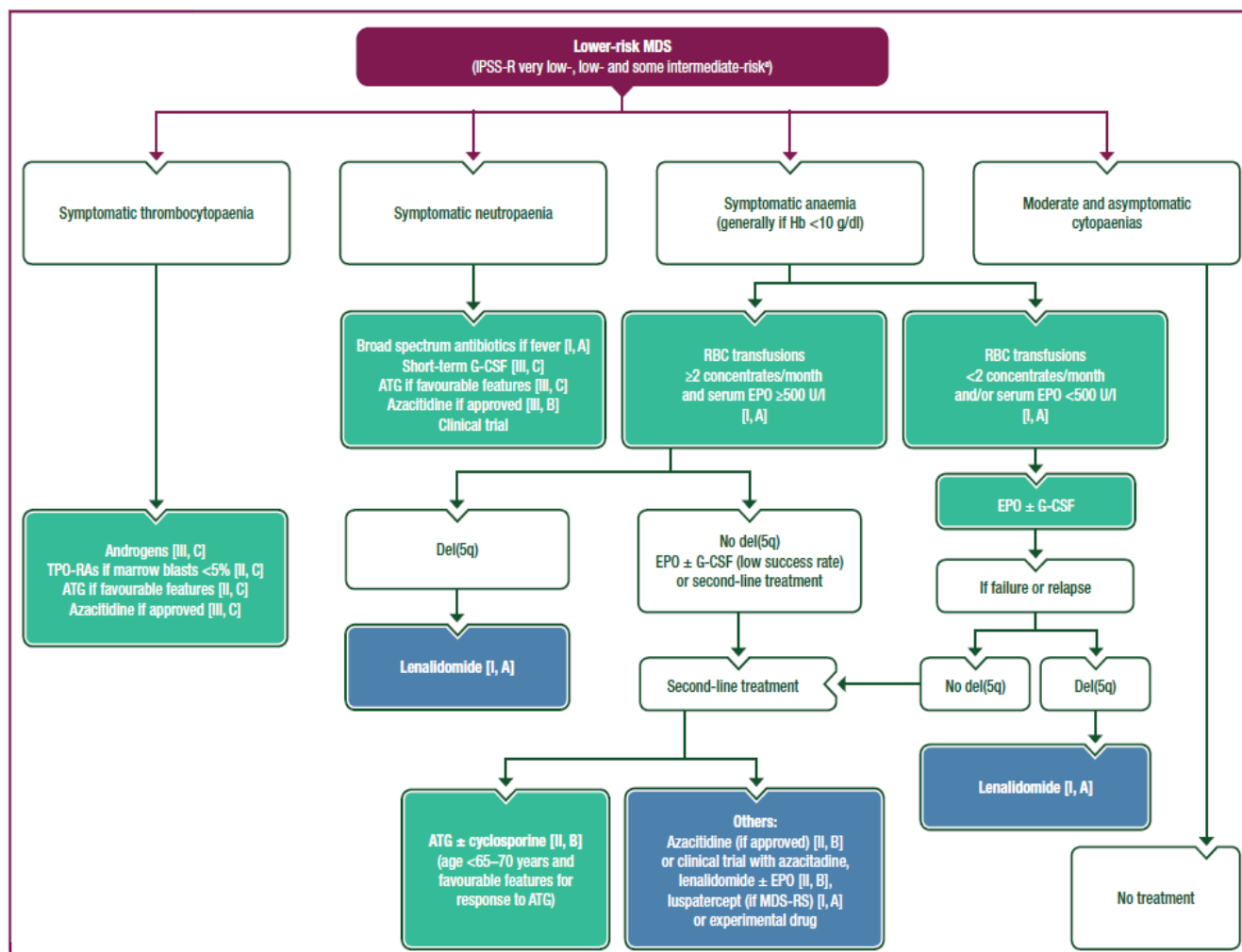


Figure 3. Treatment algorithm for lower-risk MDS.

ATG, antithymocyte globulin; EPO, erythropoietin; G-CSF, granulocyte colony-stimulating factor; Hb, haemoglobin; IPSS-R, revised international prognostic scoring system; MDS, myelodysplastic syndromes; MDS-RS, myelodysplastic syndrome with ring sideroblasts; RBC, red blood cell; TPO-RA, thrombopoietin receptor agonist.

* For IPSS-R intermediate-risk MDS patients, whether they should initially receive treatment for lower-risk MDS or higher-risk MDS is also based on other factors including age, comorbidities, importance of cytopenias, somatic mutations, effect of first-line treatment, etc.

Podpůrná léčba:

Zahrnuje **transfuze erytrocytů, trombocytů, podávání antibiotik a antimykotik a chelatační léčbu**.⁴ Transfuzní závislost významně zhoršuje přežití pacientů s MDS. Kromě toho, časté podávání transfuzí erytrocytů (RBC) je hlavním rizikovým faktorem toxicity železa. Komplikace související s toxicitou železa zahrnují poškození jater a kardiomyopatie.

Identifikace relevantních komparátorů

Relevantním komparátorem v druhé linii léčby MDS velmi nízkého, nízkého a středního rizika je **BSC** zahrnující transfuze erytrocytů, chelatační a další podpůrnou léčbu.

Hodnocení účinnosti a bezpečnosti posuzovaného léčivého přípravku

Komparativní účinnost a bezpečnost

Klinická data o účinnosti a bezpečnosti LP REBLOZYL pochází z klinické studie **MEDALIST, 2020**¹¹. Následně pak byla doplněna dlouhodobými daty z pozdějších analýz^{12,13}.

Klinická studie MEDALIST byla multicentrickou, dvojitě zaslepenou, randomizovanou, placebem kontrolovanou klinickou studií fáze 3.

Design studie:

fáze screeningu (5 týdnů; musí být k dispozici 16 týdnů historie transfuzí)

- fáze screeningu (5 týdnů; musí být k dispozici 16 týdnů historie transfuzí)
- dvojitě zaslepené primární fáze (1. - 24. týden) a dvojitě zaslepená fáze prodloužení (24. - 48. týden)
- follow-up fáze 3 roky, otevřená fáze

Cílová skupina: dospělí pacienti s velmi nízkým, nízkým nebo středním rizikem MDS syndromů (definováno podle IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří dostávali pravidelné transfúze červených krvinek (≥ 2 U za 8 týdnů během 16 týdnů před randomizací) a byli refrakterní nebo pravděpodobně nebudou reagovat na léčbu ESAs (endogenní EPO >200 U/l) nebo museli ukončit léčbu ESAs z důvodu nežádoucích účinků. Medián věku byl 74 let. Randomizace 2:1.

Léčebná intervence: LST v dávce 1,0 - 1,75 mg/kg nebo placebo subkutánně každé 3 týdny po dobu 24 týdnů. Všichni pacienti v intervenčním rameni i v rameni placeba mohli dostávat BSC, která zahrnovala dle potřeby transfuze RBC, látky chelatuující železo, podávání antibiotik, antivirotik a antimykotik a nutriční podporu.

Primární parametr: dosažení nezávislosti na transfuzích (RBC-TI) po dobu 8 týdnů (žádná transfuze po dobu po sobě jdoucích 56 dnů) nebo déle během 1. až 24. týdne léčby.

Hlavní sekundární parametry: dosažení RBC-TI po dobu 12 týdnů nebo déle, hodnoceno během týdnů 1-48 a 1-24.

Výsledky dvojitě zaslepené primární fáze: podrobně jsou výsledky pro primární i sekundární sledované parametry uvedeny v rozhodnutí ve správním řízení sp. zn. SUKLS74746/2024². Níže Ústav uvádí tabulkové shrnutí výsledků pro primární a hlavní sekundární parametry:

Rank in multiple testing ^a	Endpoint	Luspatercept (N=153)	Placebo (N=76)	p-value ^b	Common Risk Difference on Response Rate (%) (95% CI)	Odds Ratio (95% CI) ^b
Primary efficacy endpoints		Number of responders, response rates and corresponding 95%CI				
1	RBC-TI ≥ 8 weeks from Week 1 through Week 24 ^c	n=58 37.91% (30.20, 46.10)	n= 10 13.16% (6.49, 22.87)	< 0.0001	24.56 (14.48, 34.64)	5.065 (2.278, 11.259)
Key secondary efficacy endpoints		Number of responders, response rates and corresponding 95%CI				
2	RBC-TI ≥ 12 weeks from Week 1 through Week 48 ^d	n=51 33.33% (25.93, 41.40)	n=9 11.84% (5.56, 21.29)	0.0003	21.37 (11.23, 31.51)	4.045 (1.827, 8.956)
3	RBC-TI ≥ 12 weeks from Week 1 through Week 24 ^e	n=43 28.10% (21.14, 35.93)	n=6 7.89% (2.95, 16.40)	0.0002	20.00 (10.92, 29.08)	5.071 (2.002, 12.844)

IPSS-R = International Prognostic Scoring System-Revised; ITT = intent-to-treat; RBC = red blood cell; RBC-TI = red blood cell transfusion independence.

Kromě toho v analýze, v níž byla použita **nová kritéria odezvy IWG 2018**, dosáhlo větší procento pacientů ve skupině s LST, než ve skupině s placebem, **transfuzní nezávislosti po dobu 16 týdnů** nebo déle (**19 % oproti 4 % v týdnech 1 až 24 a 28 % oproti 7 % v týdnech 1 až 48**).

Pacienti, kteří reportovali klinický benefit v 1.-24. týdnu studie MEDALIST (v rameni LST i placebo) a neměli progresi onemocnění pokračovali v otevřené prodloužené fázi (fáze 3b) - **LTFU-study, 2022¹³**, ve které bylo sledováno:

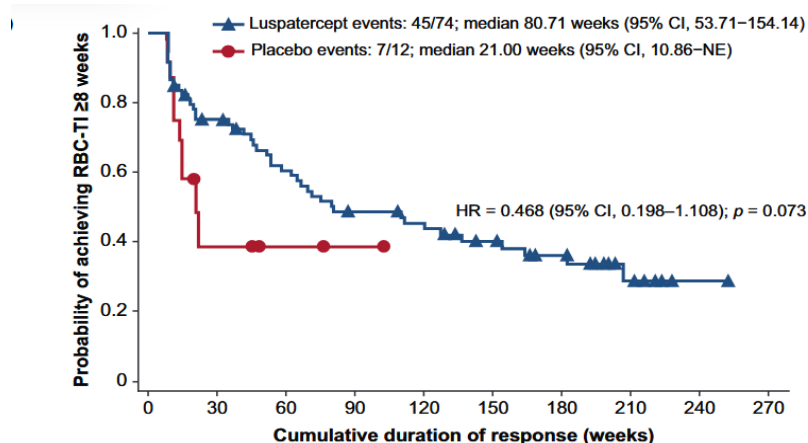
- Transfuzní nezávislost
- Trvání transfuzní nezávislosti
- Míra progresce do vysoce rizikového MDS a AML

Níže pak Ústav uvádí souborné výsledky pro parametr transfuzní nezávislosti pro jednotlivá období sledování v rámci LTFU:

	November 26, 2020 DCO (26)		January 15, 2021 DCO (27)		January 15, 2022 DCO (28)	
	LST	PBO	LST	PBO	LST	PBO
Median duration of treatment	50.9 weeks	24.0 weeks	11.7 months	5.52 months		
RBC-TI ≥ 8 weeks during						
Entire study period	---	---	48.4 % Risk difference 32.95; OR 6.12 (95% CI 2.91;12.87); p < 0.0001	15.8 %	49.0 %	15.8 %
1-24	37.9 %	13.2 %	---	---	37.9 %	13.2 %
1-48	45.1 %	15.8 %	---	---	45.1 %	15.8 %
RBC-TI ≥ 16 weeks during						
Entire study period	---	---	31.4 % Risk difference 23.27; OR 5.90 (95% CI 2.34; 14.9); p < 0.0001	7.9 %	---	---
1-24	---	---	---	---	---	---
1-48	---	---	---	---	---	---
RBC-TI ≥ 24 weeks during						
Entire study period	---	---	---	---	30.1 %	5.3 %
1-24	---	---	---	---	13.1 %	1.3 %
1-48	---	---	---	---	24.8 %	2.6 %

Key: LST – luspatercept, PBO – placebo, mo – months, w - weeks

Obr. Celková délka trvání všech období, během nichž došlo k odezvě na léčbu RBC-TI, činila ≥ 8 týdnů v jakémkoli okamžiku v průběhu studie



No. of responders

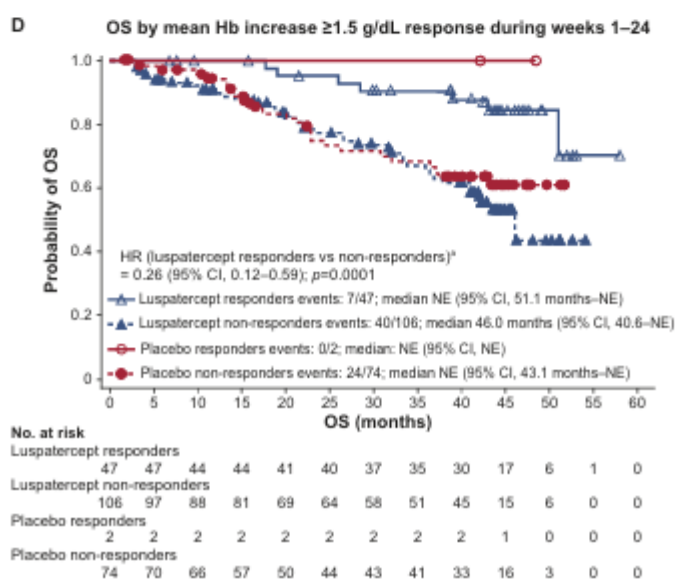
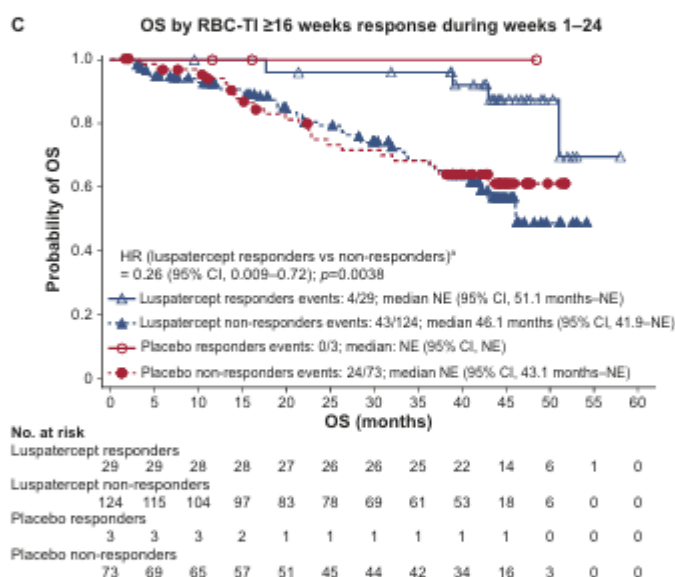
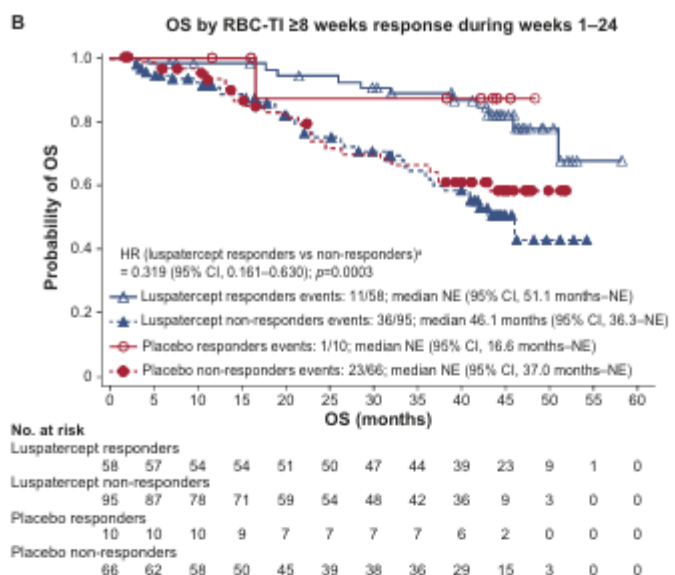
Luspatercept	74	53	41	30	27	21	16	6	1	0
Placebo	12	4	2	1	0	0	0	0	0	0

Mezi pacienty léčenými LST došlo během celého období léčby (k 15. 1. 2021) u 5,9 %, resp. 2,6 % k progresi do HR-MDS, resp. AML, ve srovnání s 3,9 % pacientů (pro obě diagnózy) užívajících placebo.

Obr. Progrese do HR-MDS/AML

	Luspatercept (<i>n</i> = 153)	Placebo (<i>n</i> = 76)
Patients who progressed to AML, <i>n</i> (%)	4 (2.6)	3 (3.9)
Total person-years, years	410.3	197.0
Incidence rate per 100 person-years (95% CI) ^a	0.97 (0.37–2.60)	1.52 (0.49–4.72)
Kaplan–Meier estimates		
Median time to AML progression, months (95% CI) ^b	NE (NE–NE)	NE (NE–NE)
<i>p</i> value ^c	0.5925	
HR (95% CI) ^d	0.665 (0.148–2.988)	
Summary of follow-up times, months		
Median (IQR)	39.16 (18.86–44.22)	38.19 (15.82–44.71)
Time to AML progression from original MDS diagnosis, months		
Median (IQR) ^e	61.70 (56.97–144.87)	32.69 (30.13–60.35)
Patients who progressed to HR-MDS, <i>n</i> (%)	9 (5.9)	3 (3.9)
Total person-years, years	405.2	193.1
Incidence rate per 100 person-years (95% CI) ^a	2.22 (1.16–4.27)	1.55 (0.50–4.82)
Kaplan–Meier estimates		
Median time to HR-MDS progression, months (95% CI) ^b	NE (NE–NE)	NE (NE–NE)
<i>p</i> value ^c	0.5457	
HR (95% CI) ^d	1.496 (0.402–5.569)	
Summary of follow-up times, months		
Median (IQR)	38.70 (18.86–44.22)	37.75 (15.34–44.29)
Time to HR-MDS progression from original diagnosis, months		
Median (IQR) ^f	48.99 (33.77–64.89)	53.49 (31.05–219.27)

Studie MEDALIST nebyla specificky designována na hodnocení celkového přežití (OS) a neměla pro tento parametr dostatečnou sílu, ale v rámci dlouhodobého sledování (k 15. 1. 2022)¹³ byla tato analýza provedena. Medián OS nebyl dosažen ani v jednom rameni. V parametru OS u ITT populace nebyl prokázán mezi LST a placebem signifikantní rozdíl (HR 0,96; $p = 0,8694$)¹². Léčba LST byla u pacientů, kteří dosáhli odpovědi na léčbu, spojena se signifikantně delším přežitím oproti non-respondérům¹³.



Aktualizované výsledky k datu 2. ledna 2023¹² uvádí medián sledování **39,9 měsíce** v rameni LST a **38,7 měsíce** v rameni placebo. Medián délky léčby byl výrazně delší u pacientů léčených LST — **50,9 týdne** oproti **24,0 týdne** u placebo.

Během celého léčebného období dosáhlo **49,0 % pacientů** nezávislosti na transfuzích erytrocytů po dobu alespoň 8 týdnů. Z těchto respondentů mělo **70,7 %** dvě nebo více období odpovědi a medián kumulativní délky RBC-TI ≥ 8 týdnů činil **110,14 týdne**.

Delší a klinicky významnější odpověď, tedy **RBC-TI ≥ 16 týdnů**, byla zaznamenána u **31,4 %** léčených LST. Dvě nebo více období odpovědi mělo **66,7 %** těchto pacientů a medián kumulativní délky odpovědi dosáhl **129,29 týdne**.

Zvláště důležité je, že u pacientů s odpovědí byla nezávislost na transfuzích často dlouhodobá: **41,3 %** respondentů mělo nejdelší jednotlivé období RBC-TI alespoň 1 rok a **58,7 %** mělo kumulativní délku RBC-TI alespoň 1 rok.

Dlouhodobá bezpečnost souhrnně:

Dlouhodobý bezpečnostní profil LST byl v souladu s primární analýzou. Nežádoucí účinky stupně 3/4 související s léčbou byly hlášeny u 9,2 % pacientů léčených LST oproti 3,9 % pacientů na placebo. Trvalé ukončení léčby kvůli nežádoucím účinkům nastalo u 15,7 % pacientů v rameni s LST a u 7,9 % pacientů v rameni placebo. Mezi nejčastější nežádoucí účinky u pacientů léčených LST patřily únava, průjem (oboje u 30,7 % pacientů), astenie (26,8 %), periferní edém (26,1 %) a bolesti zad (24,7 %).

Závěr Ústavu ke komparativní účinnosti a bezpečnosti:

Klinické výsledky podporují použití LST jako významné léčebné možnosti u pacientů s LR-MDS s prstenčitými sideroblasty, kteří jsou závislí na transfuzích a nereagují na ESA nebo je netolerují. Hlavním přínosem je významné snížení transfuzní zátěže, prodloužení období bez transfuzí a tím i potenciální zlepšení kvality života u pacientů, u nichž jsou terapeutické možnosti omezené ve srovnání s placebem.

Důležitým zjištěním je, že delší expozice nevedla k objevení nových bezpečnostních rizik, bezpečnostní profil je předvídatelný a nebylo zjištěno zvýšení rizika progresu do AML/HR-MDS ve srovnání s placebem.

Údaje z klinické praxe

Údaje o pacientech léčených LST v české klinické praxi jsou shromažďovány v registru VILP REBLOZYL¹⁴ pro druhou linii léčby MDS. Žadatel odkazuje na výsledky z tohoto registru, které byly předloženy v minulém správním řízení pro stanovení druhé dočasné úhrady ve správním řízení SUKLS74746/2024. Data z registru dokládají, že léčba LST v reálné klinické praxi má obdobnou míru účinnosti a bezpečnosti jaká byla zjištěna v podkladové studii MEDALIST, i při zohlednění nových kritérií IWG 2018, kdy klinicky významná odpověď je definována jako dosažení TI po dobu 16 týdnů, bylo tohoto cíle dosaženo u více než jedné třetiny hodnocených pacientů.

Obr. Srovnání transfuzní nezávislosti u pacientů léčených v rámci režimu VILP v ČR a pacientů z registrační studie MEDALIST

RBC-TI v době během 1. až 24. týdne	VILP Reblozyl (N = 59)	Studie MEDALIST (N = 153)	p-hodnota ¹
≥ 8 týdnů N (%)	33 (56 %)	58 (38 %)	p = 0,007
[95% IS]	[42 %-69 %]	[30 %-46 %]	
≥ 12 týdnů N (%)	21 (36 %)	43 (28 %)	
[95% IS]	[24 %-49 %]	[21 %-36 %]	
≥ 16 týdnů N (%)	21 (36 %)	29 (19 %)	
[95% IS]	[24 %-49 %]	[13 %-26 %]	
RBC-TI v době během 1. až 48. týdne	(N = 53)	(N = 153)	
≥ 12 týdnů N (%)	27 (51 %)	51 (33 %)	
[95% IS]	[37 %-65 %]	[26 %-41 %]	
≥ 16 týdnů N (%)	19 (36 %)	43 (28 %)	
[95% IS]	[23 %-50 %]	[21 %-36 %]	

¹ Testováno pomocí exaktního binomického testu.

Limitace klinické evidence

Zásadní limitace nebyly zjištěny. Účinnost a bezpečnost přípravku u posuzované skupiny pacientů je ověřena užíváním v české klinické praxi.

Pravděpodobný pozitivní vliv na OS byl prokázán pouze u respondérů, ne u celé populace. Podmínky úhrady proto zahrnují kritérium pro ukončení léčby u pacientů, kteří nedosáhnou do týdne 25 léčby terapeutickou odpověď.

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 ve veřejném zdravotním pojištění a stanovením dočasné úhrady v tomto správním řízení nezabýval.

Závěr k terapeutické zaměnitelnosti

Stanovení referenční indikace

Referenční indikací je léčba dospělých pacientů s anémií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

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 léčivých přípravků zařazených do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků s obsahem léčivé látky luspatercept.

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

Nenalezena.

Stanovení obvyklé denní terapeutické dávky (ODTD)

Návrh žadatele

3,5714 mg

Posouzení Ústavu

ODTD léčivé látky luspatercept (B03XA06) byla stanovena v předchozím správním řízení sp. zn. SUKL74746/2024² dle ustanovení § 15 odst. 2 písm. b) vyhlášky č. 376/2011 Sb. podle doporučeného dávkování uvedeného v SmPC. ODTD byla stanovena v referenční indikaci uvedené v kapitole „Stanovení referenční indikace“.

Podrobný postup stanovení ODTD je blíže popsán ve výše uvedeném rozhodnutí, které je součástí spisové dokumentace.

Léčivá látka	ATC	ODTD	Frekvence dávkování	DDD dle WHO ¹⁵	Doporučené dávkování dle SmPC ¹
luspatercept	B03XA06	3,5714 mg	intervalově	3,33	1,0 mg/kg 1x za 3 týdny

Definovaná denní dávka (DDD) LST dle Světové zdravotnické organizace (dále též „WHO“) je stanovena ve výši 3,33 mg.

Dávkování dle SmPC¹: doporučená počáteční dávka přípravku je 1,0 mg/kg podávaná jednou za 3 týdny. Dávka se nemá zvyšovat častěji než po 6 týdnech (2 podání) a nemá překročit maximální dávku 1,75 mg/kg každé 3 týdny. Dávka se nemá snižovat bezprostředně po odložení dávky. Před každým podáním přípravku se má u pacientů vyšetřit hladina Hb. V případě, že je před podáním dávky léčivého přípravku podána transfuze červených krvinek, musí se pro účely dávkování použít hladina Hb před transfuzí.

Při výpočtu ODTD Ústav zohlednil počáteční dávku 1,0 mg/kg, standardní hmotnost pacientů 75 kg a třítydenní interval podávání ($1\text{mg/kg} \cdot 75\text{kg} / 21 = 3,5714\text{ mg}$).

Dávkování v klinických studiích: je ve shodě s dávkováním dle SmPC¹¹.

Dávkování dle klinických doporučení: je ve shodě s dávkováním dle SmPC^{3,4}.

Vzhledem k výše uvedenému Ústav stanovil ODTD luspaterceptu ve výši 3,5714 mg.

Identifikace populace pro stanovení zvýšené úhrady ev. bonifikace

Návrh žadatele

Nepožaduje.

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

STANOVENÍ MAXIMÁLNÍ CENY

Nebylo předmětem tohoto správního řízení.

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 posuzované léčivé přípravky jsou zařazeny do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných léčivých přípravků s obsahem léčivé látky luspatercept, stanovil Ústav základní úhradu léčivé látky v těchto případech obsažené.

Základní úhrada byla stanovena dle ustanovení § 39c odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění. Vychází z referenčního přípravku REBLOZYL 75MG INJ PLV SOL 1 a je ve výši 2757,0452 Kč za ODTD.

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

Do cenového srovnání v rámci posuzované skupiny byly zařazeny přípravky dostupné v České republice ve smyslu ustanovení § 39c odst. 2 písm. a) zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Rozhodným obdobím je 3. čtvrtletí 2026 dle ustanovení § 13 vyhlášky č. 376/2011 Sb.

Ceny byly zjišťovány u přípravků se silou v rámci intervalu. Pro léčivou látku luspatercept i pro síly mimo interval, protože se dává podle tělesných parametrů.

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 3. čtvrtletí 2026.

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
luspatercept	3,5714 mg	REBLOZYL 75MG INJ PLV SOL 1	57898,41141000 Kč	21,00016800	Německo

Základní úhrada za jednotku lékové formy – ***luspatercept*** (ODTD 3,5714 mg)

Frekvence dávkování: 1x denně

Interval: od 1,7857 mg do 7,1428 mg

3,5714 mg (ODTD) 2757,0452 Kč (57898,41141000 Kč/21,00016800)

25 mg 19299,4708 Kč (2757,0452 Kč/3,5714*25)

75 mg 57898,4124 Kč (2757,0452 Kč/3,5714*75)

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

Úhrada byla stanovena aritmeticky i pro síly mimo interval (25 mg a 75 mg), jelikož se jedná o přípravky dávkované podle tělesných parametrů.

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 7,83 % nižší než průměr druhé a třetí nejnižší ceny výrobce téhož přípravku zjištěných ve Slovinsku a na Slovensku.

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 luspatercept není zařazena do žádné skupiny přílohy č. 2 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

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

Informativní přepočtení 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)
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1	25 987,84	19 299,47	22 368,03
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1	77 963,52	57 898,41	67 104,10

Informativní přepočtení 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

Nebyla stanovena.

HODNOCENÍ NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY A DOPADU NA ROZPOČET

Dne 30. 12. 2025 žadatel předložil analýzu nákladové efektivity a dopadu na rozpočet (č. j. sukl542510/2025 a sukl542522/2025 v režimu obchodního tajemství). Dne 25. 6. 2026 Ústav obdržel odpověď žadatele na výzvu k součinnosti (č. j. sukl209665/2026 a sukl209664/2026 v režimu obchodního tajemství) a dne 20. 7. 2026 Ústav obdržel doplnění analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet (č. j. sukl229189/2026 v režimu obchodního tajemství). 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 REBLOZYL (luspatercept, LST) ve srovnání s komparátorem BSC (*best supportive care*) v indikaci léčba anémie závislé na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazovali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí, u populace dospělých pacientů byla použita analýza typu *cost-utility* (QALY) a *cost-effectiveness* (LYG). Použit byl Markovův model, celoživotní (20 let) časový horizont, perspektiva plátce zdravotní péče a 3% diskontní sazba.

Údaje o účinnosti a bezpečnosti pocházely ze studie MEDALIST, Fenaux et al., 2020¹¹ a dat dlouhodobého sledování sebraných k 1. červenci 2019¹⁶.

Data pro odpověď na léčbu (respondér) jsou modelována na základě dat pro 1. rok z publikace Fenaux et al., 2020¹¹. Údaje ztráty odpovědi na léčbu byly modelovány na základě KM křivky za období Týden 1–48 ze studie MEDALIST (1. července 2019), přičemž byly extrapolovány lognormální funkcí v ramenu LST a Weibullovou funkcí v ramenu BSC.

Účinnostní data, tj. přechodové pravděpodobnosti mezi stavy transfúzní závislosti (TD), high risk (HR) MDS, akutní myeloidní leukemie (AML) a úmrtí pro nonrespondéry a respondéry po ztrátě odpovědi v 1. roce vycházejí z dat pro uvedené období studie MEDALIST, tj. ze sběru dat k 1. červenci 2019¹⁶.

Účinnost po 1. roce a za horizontem klinické studie pro nonrespondéry a respondéry po ztrátě odpovědi byla pro stavy transfúzní nezávislosti (TI), TD a HR MDS po 1. roce modelována na základě dat za období follow up studie MEDALIST sebraných rovněž k 1. červenci 2019¹⁶.

Údaje pro incidenci AML po 1. roce byly čerpány z publikace Greenberg et al., 2012⁶, přičemž křivky incidence AML z této studie byly extrapolovány pomocí lognormální funkce.

Celkové přežití bylo modelováno zvlášť pro pacienty ve stavu MDS a ve stavu AML. Celkové přežití ve stavu AML byl po 1. roce modelován na základě KM křivek studie Oran a Weisdorf, 2012¹⁷, a extrapolována pomocí funkce Weibull. Celkové přežití ve stavu MDS bylo po 1. roce modelováno na základě KM křivek studie MEDALIST se sběrem dat k 1. červenci 2019¹⁶, které byly extrapolovány zvlášť pro pacienty odpovídající na léčbu luspaterceptem (responders), pacienty bez léčebné odpovědi (non-responders) a souhrnně pro pacienty v kontrolním rameni BSC a to pomocí funkce Weibull.

Údaje o kvalitě života pacientů pocházely ze studie Stauder et al., 2018¹⁸, (stavy TI a TD), kde byla použita metoda EQ-5D, Levy et al., 2014¹⁹ (stav HR MDS), kde bylo mapovací metodou autorů McKenzie a van der Pol, 2009²⁰ převedeny hodnoty kvality života získané metodou EORTC QLQ C-30 ve studii Kornblith et al., 2002²¹, na hodnoty EQ-5D. Údaje o kvalitě života ve stavu AML jsou shodné s hodnotou utility stavu HR MDS.

Přehled přínosů zohledněných v předložené a hodnocené farmakoekonomické analýze

Přínosy dle ustanovení § 15 odst. 8 zákona o veřejném zdravotním pojištění a přínosy v hodnocené analýze nákladové efektivity	Měřené klinické parametry ze studií viz část 3.4.	
	Délka života dle klinické evidence v části 3.4	Kvalita života dle klinické evidence v části 3.4 a části G-4.2 Strukturovaného podání
	Výše uvedené kategorie klinických přínosů, včetně přínosů ovlivňujících délku a kvalitu života jsou zohledněny v parametru QALY v hodnocené analýze typu <i>cost-utility</i>	

Zahrnuty byly přímé náklady na monitoring onemocnění v různých stavech závislosti na krevních transfúzích (TI a TD), progresu onemocnění (HR MDS a AML) a monitoring nežádoucích účinků chelatační léčby. Dále byly zahrnuty přímé náklady na farmakoterapii hodnocenou intervencí luspatercept (LST), chelatační léčbu (ICT), azacitidin, alogenní transplantaci krvetvorných buněk (ASCT), konsolidační a paliativní chemoterapii AML, transfuze erytrocytů (RBC) včetně administrace a náklady na management nežádoucích účinků.

Zdrojem pro určení nákladů na hodnocenou intervenci byla do 25. týdne studie MEDALIST, sběr dat k 8. květnu 2018. Po 25. týdnu náklady vycházely z modelace křivky ToT pro LST (Obrázek č. 19 strukturovaného podání) ze studie MEDALIST, sběr dat k 1. červenci 2019¹⁶, která byla extrapolována pomocí exponenciální funkce. Zdrojem pro určení nákladů byl platný Seznam cen a úhrad LP/PZLÚ a platná legislativa a náklady na hodnocený přípravek představovaly 24 108,86 Kč (kód 0249644) a 72 326,57 Kč (kód 0249645) (vyšší než aktuální kalkulace Ústavu). Zdrojem údajů pro čerpání péče byl expertní panel (TI, TD, HR MDS, AML), studie MEDALIST (TI, TD), SPC (monitoring chelatační léčby).

V žadatелеm představeném základním scénáři hodnota ICER činila 2 318 017 Kč/QALY ve srovnání s BSC. K relevanci výsledku se Ústav vyjadřuje níže.

Posouzení předložené analýzy

Zdrojová data analýzy

Žadatel předložil Ústavu po výzvě k součinnosti všechnu potřebnou zdrojovou dokumentaci (část v režimu obchodního tajemství), aby byl Ústav schopen přezkoumat vstupní data a zdrojová data analýzy. Ústav proto považuje zdrojová data analýzy za přezkoumatelné.

Vstupní data do modelace – váha, věk a zastoupení mužů

Žadatel v původním nastavení farmakoekonomického modelu použil hodnoty váhy a věku ze studie MEDALIST. V souladu s požadavkem Ústavu použil žadatel data věku a váhy z registru pro základní scénář a pro alternativní scénář použití údajů z klinické studie. Tyto scénáře v případě podílu mužů a vstupního věku z klinické studie MEDALIST nemají vliv na výslednou hodnotu ICER a v případě hmotnosti dle klinické studie MEDALIST má pouze malý vliv na výslednou hodnotu ICER. Ústav toto nastavení akceptuje.

Data o účinnosti – přechodové pravděpodobnosti

V odpovědi na výzvu k součinnosti žadatel na požadavek Ústavu uvedl, že přechodové pravděpodobnosti v 1. roce i po 1. roce byly odvozeny na základě individuálních dat pacientů (IPD) zařazených do studie MEDALIST. Žadatel předložil dokument obsahující počty pacientů pro jednotlivé stavy (v režimu obchodního tajemství) a dále předložil technický report (v režimu obchodního tajemství). Na základě těchto dokumentů byl Ústav schopen přezkoumat přechodové pravděpodobnosti.

Modelace OS u pacientů ve stavu MDS

Ústav ve výzvě k součinnosti požadoval v základním scénáři neuvažovat u pacientů ve stavu MDS přínos v parametru OS. Žadatel argumentoval, že rozdíl v celkovém přežití nelze zanedbat a poukázal, že v klinické studii MEDALIST byl

v rameni luspaterceptu prokázán statisticky významný rozdíl v přežití v závislosti na dosažení transfúzní nezávislosti. Statisticky významného rozdílu bylo dosaženo rovněž při srovnání celkového přežití pacientů s odpovědí (dosažení RBC-TI $\geq$ 8 týdnů během 1.-24. týdne) na luspatercept ve srovnání s kontrolním ramenem. Toto potvrzují data z klinické praxe – Consagra et al. 2025²², kde bylo u pacientů s luspaterceptem pozorováno, že vyšší transfúzní závislost na RBC je asociovaná s kratším OS, což odráží biologii onemocnění a komplikace dlouhodobě podávaných RBC transfúzí. V článku Consagra et al. 2025 autoři sice upozorňují, že hodnocení OS na základě responze může být vnímáno jako bias, ale považují toto pozorování za silně klinicky signifikantní. Ústav předložené argumenty žadatele o klinické a statistické významnosti přínosu luspaterceptu v parametru OS akceptuje.

Žadatel modeloval v rameni hodnocené intervence odděleně celkové přežití pacientů ve stavu MDS na základě odpovědi na léčbu luspaterceptem. Žadatel extrapoloval zvlášť křivky pro responders a non-responders pacienty a Ústav toto nastavení akceptuje.

Extrapolace incidence AML

Pro extrapolaci incidence AML (akutní myeloidní leukemie) po uplynutí 1 roku od zahájení léčby požadoval Ústav použití lognormální funkce, jelikož tato funkce vykazuje lepší shodu s pozorovanými daty a má 1. nejlepší fit. Žadatel tomuto požadavku vyhověl. Ústav toto nastavení akceptuje.

Náklady

Náklady na LP REBLOZYL

Žadatel upravil v rámci aktualizované farmakoekonomické analýzy (dle požadavku ve Výzvě k součinnosti) náklady na LP REBLOZYL ve veřejném scénáři tak, aby odpovídaly kalkulované výši úhrady, tj. 24 108,86 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249644) a 72 326,57 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249645). Výše úhrady dle aktuálních cenových referencí činí 22 368,03 Kč (kód 0249644) a 67 104,10 Kč (kód 0249645), což představuje pokles o cca 7,22 %. Ústav proto понížil náklady na hodnocenou intervenci o 7,22 %.

Farmaceutické náklady a aktualizace nákladů pro rok 2026

V souladu s požadavkem Ústavu aktualizoval žadatel náklady na transfúzní přípravek „Erytrocyty de leukotizované (pro kód IPLP 0007955) ve výši 3 231,98 Kč/jednotka.

Dalším požadavkům Ústavu uvedeným ve výzvě k součinnosti žadatel rovněž vyhověl, včetně aktualizace nákladů dle Ceníkových listů Klasifikačního systému CZ-DRG verze 7.0 a dle Úhradové vyhlášky pro rok 2026.

Výsledky analýzy

Tabulka: Relevantní výsledek analýzy nákladové efektivity dle Ústavu (ponížení nákladů na hodnocenou intervenci o 7,22 %)

	Náklady	QALY	Δ Nákladů	Δ QALY	ICER (Kč/QALY)
Hodnocená intervence	2 450 427 Kč	3,16	-	-	-
BSC	1 431 104 Kč	2,68	1 016 104 Kč	0,47	2 161 924

Návrh finančního ujednání ze strany držitele

Žadatel dne 1. 9. 2026 předložil scénář s navrženým finančním ujednáním (č. j. sukl266645/2026). Výsledek tohoto scénáře je srovnatelný s poměrem nákladů a přínosů jiných již hrazených terapeutických intervencí.

Scénář je relevantní pro zhodnocení nákladové efektivity, neboť ve správním řízení dne 29. 9. 2026 pod č. j. sukl291065/2026, dne 30. 9. 2026 pod č. j. sukl292597/2026, dne 1. 10. 2026 pod č. j. sukl293775/2026 a dne 5. 10. 2026 pod č. j. sukl296230/2026 byly 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 v analýze předložené žadatelem významně ovlivňují výsledek:

Analýza scénářů:

- zkrácení časového horizontu na 10 let (ICER 2,6 mil. Kč/QALY),
- změna diskontace přínosů 0-5 % (ICER 1,9 -2,6 mil. Kč/QALY),
- změna diskontace nákladů 0-5 % (ICER 2,4 -2,2 mil. Kč/QALY),
- dále parametrizace v rameni BSC pro pacienty v pre-AML stavu na Gompertz (ICER 1,6 mil. Kč/QALY) a
- podíl pacientů s dosažením transfuzní nezávislosti dle registru MYDYS (ICER 2,0 mil. Kč/QALY).

V jednocestné analýze senzitivity mají největší vliv změny nákladů na balení LP REBLOZYL (ICER 2,1 – 2,5 mil. Kč/QALY), míra odpovědi v rameni BSC v 1. až 24. týdnu (ICER 2,3 – 2,3 mil. Kč/QALY). Změny ostatních parametrů nemají na výsledný ICER zásadní vliv.

Žadatelem předložená probabilistická analýza senzitivity při hodnotě 1,2 milionu Kč/QALY predikuje nákladovou efektivitu s pravděpodobností 4,1 %.

Ústav poukazuje, že žadatelem předložená hodnota probabilistického výsledku ICER (2 688 868 Kč/QALY) je vyšší o 16 % než deterministického výsledku ICER, což značí vyšší citlivost výsledku na nastavení vstupních parametrů.

Výše uvedené výsledky vychází z výše úhrady 24 108,86 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249644) a 72 326,57 Kč/balení (pro kód SÚKL 0249645). Při zohlednění nákladů dle aktuálních cenových referencí 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 REBLOZYL v indikaci léčba anémie závislé na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí, u populace dospělých pacientů ve srovnání s BSC ukazuje ICER ve výši 2,2 milionů Kč/QALY. Léčivý přípravek tak nelze považovat za nákladově efektivní intervenci, neboť poměr nákladů a přínosů není srovnatelný s jinými hrazenými terapeutickými intervencemi.

Při zohlednění uzavřeného finančního ujednání je výsledek srovnatelný s poměrem nákladů a přínosů jiných již hrazených terapeutických intervencí. LP REBLOZYL tak lze považovat za nákladově efektivní intervenci.

K srovnání poměrů nákladů a přínosů Ústav uvádí, že v souladu s požadavkem § 15 odst. 8 věty druhé zákona o veřejném zdravotním pojištění byla analyzována správná řízení s terapeutickými postupy, které při vyšších nákladech přinášely vyšší terapeutický účinek. Z analýzy 88 proběhlých správních řízení vyplynulo, že u 99 % hrazených terapeutických postupů se poměr nákladů a přínosů pohybuje mezi 0 až 1,2 milionu Kč/QALY. Ústav našel mezi těmito hrazenými postupy takový terapeutický postup, jehož poměr nákladů a přínosů lze považovat za srovnatelný s poměrem nákladů a přínosů hodnocené intervence. Přehled analyzovaných terapeutických postupů a jejich poměrů nákladů a přínosů pro účely tohoto srovnání je součástí metodiky Ústavu SP-CAU-028.

Analýza dopadu na rozpočet

Základní popis a vstupy do analýzy

Analýza odhadovala dopad na rozpočet LP REBLOZYL ve srovnání s komparátorem BSC (*best supportive care*) v indikaci léčba anémie závislé na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí, u populace dospělých pacientů. Velikost cílové populace byla na základě předchozího správního řízení LP REBLOZYL pod sp. zn. SUKLS75774/2021 a prodloužení do dalších let analýzy (pomocí známé incidence a 5% ročního nárůstu) odhadnuta na 52 až 63 nově léčených pacientů v 1. – 5. roce. Dále žadatel uvažuje celkem 202 pacientů, kteří zahájili léčbu LP REBLOZYL v rámci dočasné úhrady (60, 45, 47 a 50 pacientů v jednotlivých letech). Penetrace na trh představovala 100 %, což odpovídá celkem 52 až 63 nově léčených pacientů v prvních pěti letech. Zahrnuty byly pouze přímé náklady na farmakoterapii (luspatercept, RBC a chelatační terapie). Výše nákladů odpovídala analýze nákladové efektivity. Náklady na hodnocený přípravek představovaly 24 108,86 Kč (kód 0249644) a 72 326,57 Kč (kód 0249645) (vyšší než aktuální kalkulace Ústavu).

V žadatelem představené analýze činil dopad na rozpočet 52,6 až 62,0 mil. Kč v prvních pěti letech. Celkové náklady na léčbu 1 pacienta léčeného LP REBLOZYL odpovídaly 1 951 796 Kč, léčeného BSC 973 035 Kč. K relevanci výsledku se Ústav vyjadřuje níže.

Posouzení předložené analýzy

Velikost cílové populace

Žadatel při odhadu předpokládal stanovení úhrady v léčbě první linie v probíhajícím správním řízení pod sp. zn. SUKLS340547/2025 a ponížil tak počty pacientů v analýze. Ústav vyzval žadatele, aby v základním scénáři počet pacientů neponižoval, protože nešlo předjímat, zda dojde k stanovení úhrady luspaterceptu v léčbě první linie. Scénář zahrnující předpoklad stanovení úhrady v léčbě první linie žadatel po výzvě přesunul do alternativního scénáře. Tento scénář uvažuje pokles pacientů v celém horizontu.

Dne 28. 5. 2026 bylo ve správním řízení sp. zn. SUKLS340547/2025 vydáno rozhodnutí a LP REBLOZYL byla stanovena první dočasná úhrada v léčbě anémie závislé na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu velmi nízkého, nízkého a středního rizika u dospělých pacientů, kteří dosud nebyli léčeni faktory stimulujícími erytropoézu.

Ústav proto nově za základní scénář považuje scénář s poníženým počtem pacientů cílové populace (o pacienty zahajující léčbu v 1. linii) po první 3 roky analýzy (tj. po dobu platnosti první dočasné úhrady LP REBLOZYL u nepředléčených pacientů). Takový scénář žadatel nepředložil.

Od cílové populace pacientů byli proto Ústavem odečtení pacienti zahajující léčbu LP REBLOZYL v 1. linii první 3 roky a současná analýza počítá s 35 nově léčenými pacienty 1.-3. rok a následně s 60 pacienty ve 4. roce a 63 pacienty v 5. roce analýzy.

Náklady

Žadatel vysvětlil, jakým algoritmem byly kalkulovány náklady ve světě bez hodnocené intervence po 2.-5. rok. U pacientů, kteří zahájili léčbu LP REBLOZYL v rámci dočasné úhrady, byly odečteny náklady na LP REBLOZYL (a byly ponechány náklady na RBC a chelatační terapii) z ramene LST + RBC. Ústav tento postup akceptuje. Ústavu se podařilo tyto náklady přezkoumat a tento postup akceptuje.

Ústav poukazuje, že u pacientů, kteří zahájili léčbu LP REBLOZYL v rámci dočasné úhrady, byly v analýze přiděleny náklady pro 2. až 9. roky léčby.

Výše úhrady dle aktuálních cenových referencí činí 22 368,03 Kč (kód 0249644) a 67 104,10 Kč (kód 0249645), což představuje pokles o cca 7,22 %. Ústav proto ponížil náklady na hodnocenou intervenci o 7,22 %.

Výsledky a nejistota analýzy

Níže Ústav prezentuje výsledek základního scénáře analýzy dopadu na rozpočet přepočtený Ústavem. Ústav upravil počet pacientů ve 4. a 5. roce analýzy. Ústav také sečetl počet pacientů, kteří zahájili léčbu LP REBLOZYL v rámci dočasné úhrady. Dále Ústav понížil náklady na hodnocenou intervenci o 7,22 % dle aktuálních cenových referencí.

Tabulka: Relevantní výsledek analýzy dopadu na rozpočet dle Ústavu

		Rok 1	Rok 2	Rok 3	Rok 4	Rok 5
Svět bez intervence	Počet pacientů BSC (nově léčení)	35	35	35	60	63
	Počet pacientů (pokračující)	202	202	202	202	202
	Náklady BSC (nově) (Kč)	9 483 320	18 037 985	24 962 210	37 008 725	47 753 356
	Náklady BSC (pokračující) (Kč)	32 736 680	27 330 343	21 732 103	16 694 498	12 462 718
	Náklady celkem (Kč)	42 220 000	45 368 328	46 694 313	53 703 223	60 216 074
Svět s intervencí	Počet pacientů REBLOZYL (nově léčení)	35	35	35	60	63
	Počet pacientů REBLOZYL (pokračující)	202	202	202	202	202
	Náklady LP REBLOZYL (nově léčení) (Kč)	32 382 980	45 526 220	54 216 960	83 801 991	100 855 854
	Náklady LP REBLOZYL (pokračující) (Kč)	47 128 019	33 674 695	25 177 345	18 794 733	13 695 546
	Náklady celkem (Kč)	79 510 999	79 200 915	79 394 305	102 596 723	114 551 400
	Dopad na rozpočet (Kč)	37 290 999	33 832 587	32 699 992	48 893 500	54 335 326
Min. dopad na rozpočet (SA)* (mil. Kč)		37,3	33,8	32,7	32,5	32,7
Max. dopad na rozpočet (SA)** (mil. Kč)		48,4	49,1	51,2	53,5	56,7

HI - hodnocená intervence

* Scénář s 35 pacienty léčenými každý rok (předpoklad dočasné úhrady v první linii v celém horizontu)

** Scénář s počtem pacientů: 52, 55, 58, 60, 63 (bez ponížení o pacienty léčené v první linii v celém horizontu)

Návrh finančního ujednání ze strany držitele

Žadatel dne 1. 9. 2026 předložil scénář s navrženým finančním ujednáním (č. j. sukl266645/2026). Výsledek tohoto scénáře je příznivější. Ve správním řízení byly dne 29. 9. 2026 pod č. j. sukl291065/2026, dne 30. 9. 2026 pod č. j. sukl292597/2026, dne 1. 10. 2026 pod č. j. sukl293775/2026 a dne 5. 10. 2026 pod č. j. sukl296230/2026 předloženy předmětné smlouvy. Scénář je relevantní pro zhodnocení dopadu na rozpočet.

Posouzení výše dopadu na rozpočet dle rozhodovací praxe Ústavu

Ústav v souladu s rozhodnutím Ministerstva zdravotnictví MZDR 55936/2015-2/FAR sp. zn. FAR: L85/2015 provedl srovnání se skutkově obdobnými případy, přičemž výše dopadu na rozpočet se jeví jako přiměřená.

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

spisová značka	léčivý přípravek	indikace	dopad na rozpočet
SUKLS134806/2013	VIDAZA	MDS	57,7 – 73,1 milionů Kč
SUKLS109735/2014	lenalidomid	MDS	17,8 – 31,0 milionů Kč
SUKLS323500/2021	EVRENZO	Anémie/dialýza a CKD	<i>Dohoda s plátcí</i>
SUKLS135982/2018	RYDAPT	AML	10 – 25,8 milionů Kč
SUKLS86737/2022	ONUREG	AML	<i>Dohoda s plátcí</i>
SUKLS89035/2022	VYXEOS LIPOSOMAL	AML	<i>Dohoda s plátcí</i>
SUKLS74746/2024	REBLOZYL	anemie v důsledku MDS nebo thalasemie	135,2 – 184,0 milionů Kč

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 REBLOZYL v indikaci léčba anémie závislé na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí, u populace dospělých pacientů odhaduje 35 až 63 léčených pacientů (a 202 pacientů pokračujících v léčbě zahájené v rámci dočasné úhrady) a ukazuje výsledek ve výši 37,3 až 54,3 milionů Kč v prvních pěti letech. 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

S

P: Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Léčba je ukončena u pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu k 25. týdnu od zahájení terapie nebo při výskytu neakceptovatelné toxicity. Na případné přerušení léčby se tato kritéria nevztahují.

Ústavem stanovené podmínky úhrady

Dle ustanovení § 39b odst. 10 písm. a) a c) zákona o veřejném zdravotním pojištění a ustanovení § 34 odst. 1 písm. b), § 34 odst. 2 a § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. Ústav stanovil následující podmínky úhrady (změny oproti současnému stavu zvýrazněny podtržením):

S

P: Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóru IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykázali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí.

Léčba je ukončena u pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu k 25. týdnu od zahájení terapie nebo při výskytu neakceptovatelné toxicity. Na případné přerušení léčby se tato kritéria nevztahují.

Odůvodnění podmínek úhrady

Preskripční omezení:

Symbol „S“ stanovuje, že předmětný léčivý přípravek může být předepisován pouze v centrech se zvláštní smlouvou se zdravotními pojišťovnami na léčbu tímto typem léčivých přípravků, neboť tyto léčivé přípravky je s ohledem na účinnost a bezpečnost a veřejný zájem účelné soustředit do specializovaných pracovišť podle ustanovení § 15 odst. 11 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Indikační omezení

Ústav stanovil indikační omezení v souladu s návrhem žadatele. Oproti současnému stavu nově žadatel navrhl uvést kritéria pro ukončení léčby, pokud není do 25. týdne dosaženo léčebné odpovědi. Ústav toto kritérium akceptuje, protože je v souladu s postupem v podkladové studii MEDALIST¹¹. Hodnocení onemocnění a odpovědi na léčbu se provádělo ve 25. týdnu. Pacienti, u kterých nebyl zaznamenán klinický přínos definovaný dosažením transfuzní nezávislosti alespoň po dobu 8 týdnů, tj. žádná transfuze po dobu po sobě jdoucích 56 dnů, byla léčba LST ukončena.

K výroku 1.

Ústav léčivý přípravek:

kód SÚKL:	název:	doplňk názvu:
0249644	REBLOZYL	25MG INJ PLV SOL 1

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 luspatercept.**

Ústav v probíhající správě 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 luspatercept, 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 19 299,47 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 (25 987,84 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. b), § 34 odst. 2 a § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. **stanovil podmínky úhrady ze zdravotního pojištění takto:**

S

P: Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóre IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí. Léčba je ukončena u pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu k 25. týdnu od zahájení terapie nebo při výskytu neakceptovatelné toxicity. Na případné přerušování léčby se tato kritéria nevztahují.

Odůvodnění:

Ústav stanovil posuzovanému léčivému přípravku podmínky úhrady ze zdravotního pojištění tak, jak je blíže popsáno v části „Podmínky úhrady“ tohoto dokumentu.

K výroku 2:

Ústav léčivý přípravek:

<i>kód SÚKL:</i>	<i>název:</i>	<i>doplňk názvu:</i>
0249645	REBLOZYL	75MG INJ PLV SOL 1

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 luspatercept.**

Ústav v probíhající správě 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 luspatercept, 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 57 898,41 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 (77 963,52 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. b), § 34 odst. 2 a § 39 odst. 1 a 2 vyhlášky č. 376/2011 Sb. **stanovil podmínky úhrady ze zdravotního pojištění takto:**

S

P: Přípravek je hrazen v léčbě dospělých pacientů s anemií závislou na transfuzích v důsledku myelodysplastického syndromu (MDS) velmi nízkého, nízkého a středního rizika (na základě skóre IPSS-R) s prstenčitými sideroblasty, kteří vykazali nedostatečnou léčebnou odpověď na léčbu na bázi erythropoetinu nebo pro ni nejsou způsobilí. Léčba je ukončena u pacientů s nedostatečnou odpovědí na léčbu k 25. týdnu od zahájení terapie nebo při výskytu neakceptovatelné toxicity. Na případné přerušování léčby se tato kritéria nevztahují.

Odůvodnění:

Ústav stanovil posuzovanému léčivému přípravku podmínky úhrady ze zdravotního pojištění tak, jak je blíže popsáno v části „Podmínky úhrady“ tohoto dokumentu.

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