



Žádost o schválení nového léčivého přípravku

Fm-L002-NOVYLEK-001

verze č. 2, str. 1/3

Pracoviště: Dětská klinika

Pověřená – předkládající osoba: MUDr. Hana Flögelová, Ph.D.

jméno, příjmení

vedoucí lékařka nefrologické ambulance

pracovní zařazení

kl. 5906, 4473

Hana.Flogelova@fnol.cz

telefon

e-mail

Název léčivého přípravku:

Crysvita

Forma injekční roztok k s.c. podání

Balení INJ SOL 1X1ML,

Síla 30MG/ML, 20MG/ML, 10MG/ML,

Předpokládaná cena za balení v Kč vč. DPH:

30MG/ML-235 782,45 CZK,
20MG/ML- 157 142,70 CZK,
10MG/ML-78 501,70 CZK,

Pro zjištění aktuální ceny kontaktujte lékárnu na kl. 4386

Předpokládaný počet pacientů v daném roce: 1

Náklady na 1 pacienta a rok v cenách vč. DPH:

dle tělesné hmotnosti, pro současného
konkrétního pacienta 5 501 499,- CZK
do ukončení růstu, cca 5 let (pacient má
nyní 12 let)

Předpokládaná doba trvání léčby:

Zdroj financování (volbu označte křížkem ☒):

☐ Rozpočet FNOL

☐ jiný dotační titul

☐ dar

☒ jiný: mimořádná úhrada-paragraf 16

☐ Dodávky v rámci sjednaného klinického hodnocení

Potvrzení finančního krytí:

Např. max. úhrada ze zdravotního pojištění, odkaz na dotační smlouvu,
schválení mimořádné úhrady apod.

Revizní lékař VZP byl požádán o
mimořádnou úhradu - paragraf 16, poprvé
v 11/2018 - zamítnuto, t.č. žádáme znovu

Lék má ukončeny klinické studie fáze III.

☒ ANO

☐ NE

Bez studií fáze III platí schválení pouze jednorázově pro konkrétního pacienta.

Podrobný popis medicínského přínosu:

Relevantní dokumenty přiložte jako přílohu.

Pacient má hypofosfatemickou křivici, která je způsobena zvýšenou hladinou faktoru FGF23 v krvi (u pacienta prokázána). Mutace genu PHEX (u pacienta rovněž prokázána) vede ke sníženému odbourávání FGF23 a tím narušení regulace metabolismu fosforu s jeho velkými ztrátami do moči, následně je nedostatečná mineralizace kostní tkáně.

Crysvita® (burosumab) je rekombinantní lidská monoklonální protilátka (IgG1), která se váže na růstový faktor fibroblastů 23 (FGF23) a inhibuje jeho aktivitu. Dochází tak ke zvýšení tubulární reabsorpce fosfátů v ledvinách, normalizaci fosfatémie a následnému zhojení rachitidy. Účinnost a bezpečnost léku byla ověřena v pediatrických studiích (Carpenter et al 2018, EPAR Crysvita 2017, Imel et al. 2019). Při jeho podávání došlo k významnému hojení křivice, zlepšení růstové rychlosti, zlepšení chůze a celkové tělesné kondice a ústupu bolesti. Léčbu burosumabem u pacientů s X-linked hypofosfatemickou rachitidou doporučuje Společnost pro metabolická onemocnění skeletu - stanovisko přiloženo.

Předpokládaný užitek léčby pro pacienta: zlepšení křivice, zlepšení růstu do výšky, lepší adherence k léčbě (s.c.injekce jednou za 2 týdny místo tablet 3x denně).

Porovnání se stávajícími možnostmi léčby (včetně nákladové rozvahy):

Relevantní dokumenty přiložte jako přílohu.

- Pacient je více než 7 let léčen konvenční terapií fosfáty a alfacalcidolem. Fosfátové kapsle (magistraliter, 1 kapsle obsahuje 612 mg elementárního fosforu): 1-1-2 kapsle (62 mg/kg/den), Alpha D3 0,25 mcg cps: 1-0-2 (0,75 mcg denně).

Náklady stávající léčby za rok 8 613,30 CZK

- Pacient na konvenční terapii nereaguje. Navzdory léčbě trvají u pacienta klinické projevy XLH-rachitis, deformity dolních končetin a malý vzrůst.

Crysvita® (burosumab) je jediným léčivým přípravkem zaměřeným přímo na vyvolávající příčinu onemocnění – zvýšenou hladinu FGF23. Při léčbě Crysvitou by byla stávající léčba vysazena.

Schválení žádosti přednostou předkládajícího pracoviště:

Schválení není třeba, pokud je přednost zároveň předkládatel žádosti. Při podávání žádosti v elektronické podobě je postačující uvedení přednosty do kopie e-mailu s žádostí

Datum:

27.8.2019

Jméno, příjmení:

Prof. MUDr. Dagmar Pospíšilová,
Ph.D.

Razítko, podpis

prof. MUDr. Dagmar Pospíšilová, Ph.D.

Předseda Lékové komise FNOL:

Vyjádření k žádosti:

☒ Schvaluji

☐ Neschvaluji (důvod)

Léková komise souhlasí s výjimečným použitím přípravku CRYSVITA pouze u v žádosti

uvedeného jednoho konkrétního pacienta. Lék totiž nemá žádné studie III.fáze.

Datum:

26. 9. 2019

Jméno, příjmení:

Doc. MUDr. Karel Urbánek, Ph.D.

Razítko, podpis



Hlasování členů Lékové komise FNOL:

Jméno, příjmení	Schvaluji
Mgr. Robert Běhal	☒ ANO ☐ NE
MUDr. Eleni Mikušková	☒ ANO ☐ NE
MUDr. Marta Neklanová	☒ ANO ☐ NE
MUDr. Antonín Hluší, Ph.D.	☒ ANO ☐ NE
	☐ ANO ☐ NE

Vyjádření vedoucího OZPI:

jedná se o přípravku VEP libla obecně
molekula. Po schválení, bude se obecně VEP zahrnuje
výdru do limitu ch. Dato: hodina max. hodiny prajidna
dle kralu DL VEP.

Jméno: Mgr. Ivana Aleksičová	Datum: 26.9.2019	Razítko, podpis: Mgr. Ivana Aleksičová odbor zdravotních pojištění a informací vedoucí odboru Fakultní nemocnice Olomouc
---------------------------------	---------------------	---

Schválení EN:	☒ ANO		☐ NE
Jméno: Ing. Tomáš Uvřzl	Datum: 3.10.19	Razítko, podpis:	Ing. Tomáš Uvřzl ekonomický náměstek zástupce ředitele Fakultní nemocnice Olomouc*

Schvaluji s produktem 90vance
úhrady ze strany ZP, VEP dosud neexistovala - resp. zamítla.

Vyjádření vedoucího ONLEK: *kyowakirin*

*III. Fáze bude doplněna
Orphan drugs – souhlasím*

Jméno:
Ing. Kateřina Ondráčková, MHA

Datum:
17.9.19

Razítko,
podpis: *Ing. Kateřina Ondráčková*
vedoucí oddělení lékařské diagnostiky
Fakultní nemocnice Olomouc

Schválení OBN:

☐ ANO

☐ NE

Jméno:
Ing. Čeněk Merta

Datum:
- 1 -10- 2019

Razítko, *Ing. Čeněk Merta, MBA*
podpis: *obchodní náměstek*
Fakultní nemocnice Olomouc



Mgr. Ivana Aleksičová
vedoucí oddělení
Fakultní nemocnice Olomouc

Ing. Tomáš Uvízl
obchodní náměstek
Fakultní nemocnice Olomouc