



Žádost o schválení nového léčivého přípravku

Fm-L002-NOVYLEK-001

Zdravotníků 248/7, 779 00 Olomouc
Tel. 588 441 111, E-mail: info@fnol.cz
IČ: 00098892

verze č. 4, str. 1/5

Pracoviště: Klinika plicních nemocí a tuberkulózy

Žadatel (lékař):	jméno, příjmení	MUDr. Stanislav Losse
	pracovní zařazení	Zástupce pro LP
	telefon	58844-5909
	e-mail	Stanislav.losse@fnol.cz

Název léčivého přípravku: RESPREEZA

Forma	prášek a rozpouštědlo pro infusní roztok
Balení	Inf.pso.lqf
Síla	1000 mg, 4000 mg, 5000 mg

Předpokládaná cena za balení v Kč vč. DPH:

8418,60,- Kč (1000 mg)
33674,38,- Kč (4000 mg)
42092,97,- Kč (5000 mg)

Pro zjištění aktuální ceny kontaktujte lékárnu na kl. 4386

Předpokládaný počet pacientů v daném roce:

12 osob za rok

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

Asi 2,5 mil.Kč/rok (asi 6g týdně na 1 pac.dle hmotnosti)

Předpokládaná doba trvání léčby:

Celoživotní substituce 1x týdně

Lék má ukončeny klinické studie fáze III.

☒ ANO ☐ NE

Předpokládaný způsob úhrady (volbu označte křížkem ☒):

☐ byla stanovena úhrada zdr. pojišťovny

☐ mimořádná úhrada dle §16 zák.48/1997

☒ jiný: zvlášť účtovaný přípravek zdravotní pojišťovně, pouze specializované pracoviště na pacient samoplátce

☒ jiný: zvlášť účtovaný přípravek zdravotní pojišťovně, pouze specializované pracoviště, a to na základě smlouvy uzavřené mezi ním a zdravotní pojišťovnou.

Schválení žádosti přednostou dotčeného pracoviště:

Schválení není třeba, pokud je přednostou zároveň žadatelem

Datum:

29.1.2024

Jméno, příjmení:

MUDr. Petr Jakubec, Ph.D.

Razítko, podpis

MUDr. Petr Jakubec, Ph.D.
18002

Podrobný popis medicínského přínosu:

Relevantní dokumenty přiložte jako přílohu.

Deficit A1-PI (známý také jako deficit alfa1-antitrypsinu - AATD) je vzácné, dědičné autozomálně kodominantní onemocnění, které se klinicky projevuje zejména dýchacími problémy a postižením jater. Závažný nedostatek A1-PI je spojen s vysokým rizikem rozvoje emfyzému. Podání přípravku zvyšuje a udržuje koncentrace A1-PI v séru a v tekutině kryjící epitel respiračního systému, což progresi emfyzému zpomaluje.

Substituční léčba je standardní léčbou tohoto onemocnění, jak dosvědčují všechna relevantní světová i národní guidelines a podmínky úhrady tohoto léčivého přípravku stanové SÚKL.

Pokud jde o citace, základní registrační studie je:

Chapman KR, Burdon JG, Piitulainen E, Sandhaus RA, Seersholm N, Stocks JM, Stoel BC, Huang L, Yao Z, Edelman JM, McElvaney NG; RAPID Trial Study Group. Intravenous augmentation treatment and lung density in severe α 1 antitrypsin deficiency (RAPID): a randomised, double-blind, placebo-controlled trial. *Lancet*. 2015 Jul 25;386(9991):360-8. doi: 10.1016/S0140-6736(15)60860-1. Epub 2015 May 27. PMID: 26026936.

Pokračovací studie:

Rahaghi FF, Miravittles M. Long-term clinical outcomes following treatment with alpha 1-proteinase inhibitor for COPD associated with alpha-1 antitrypsin deficiency: a look at the evidence. *Respir Res*. 2017 May 30;18(1):105. doi: 10.1186/s12931-017-0574-1. PMID: 28558837; PMCID: PMC5450185.

Fraughen DD, Ghosh AJ, Hobbs BD, Funk GC, Meischl T, Clarenbach CF, Sievi NA, Schmid-Scherzer K, McElvaney OJ, Murphy MP, Roche AD, Clarke L, Strand M, Vafai-Tabrizi F, Kelly G, Gunaratnam C, Carroll TP, McElvaney NG. Augmentation Therapy for Severe Alpha-1 Antitrypsin Deficiency Improves Survival and Is Decoupled from Spirometric Decline-A Multinational Registry Analysis. *Am J Respir Crit Care Med*. 2023 Nov 1;208(9):964-974. doi: 10.1164/rccm.202305-0863OC. PMID: 37624745.

Porovnání se stávajícími možnostmi léčby, možné alternativy:

Relevantní dokumenty přiložte jako přílohu.

Udržovací (substituční) léčba alfa-1 antitrypsinem zpomaluje progresi emfyzému u dospělých se zdokumentovaným těžkým deficitem inhibitoru alfa1-proteázy (např. genotypy PiZZ, PiZ(null), Pi(null, null), PiSZ). Brání tedy rozvoji nevratného plicního postižení a rychlému přechodu do těžších stádií onemocnění CHOPN. Pokročilá stadia CHOPN jsou obvykle i přes bronchodilatační terapii a další podpůrná opatření spojeny s respirační insuficiencí a úmrtím postižených, pokud není možnost transplantace plic.

Péče o pacienty před i po transplantaci plic je velice finančně i odborně náročná. Klinika plicních nemocí a tuberkulózy FNOL jako jediná v ČR již řadu let zajišťuje komplexní péči o pacienty po transplantaci plic společně s transplantačním centrem ve FN Motol.

Veškerá diagnostika pacientů s deficitem alfa-1 antitrypsinu i léčba pacientů s těžkými stádii CHOPN již nyní probíhá ve FNOL. Samotné podávání substituční terapie v ambulanci (Respreeza) není odborně náročné ani provozně zatěžující. Doporučená dávka je 60 mg/kg t.hm. jednou týdně. Již nyní na Klinice plicních nemocí a tuberkulózy probíhá ambulantní aplikace substituční léčby u 2 nemocných. Jen jim vždy musíme čas od času zajišťovat sanitu na kontrolu a předpis léčivého přípravku do Prahy (protože t.č.jinak nelze).

T.č.je stávající centrum pro léčbu jen v Praze Krči, v Thomayerově nemocnici. Kapacitně je již delší dobu nedostačující pro pacienty z celé ČR. Výbor ČPFS (České pneumologické a ftizeologické společnosti) doporučoval formulaci Výzvy MZ ČR na vznik 5 Věstníkových center pro léčbu nemocných s deficitem alfa-1 antitrypsinu (A1AT). Proběhlo jednání zástupců výboru ČPFS s MZ ČR, dle kterých je jasné, že uvedená centra budou vznikat obtížně a dlouho. Proto následně domluveno, že nejprve budou podávány žádosti jednotlivých nemocnic o možnost předepisovat substituční terapii (Respreeza).

Klinika plicních nemocí a tuberkulózy FN Olomouc má dlouhodobý zájem a všechny podmínky pro zajištění komplexní péče o pacienty s deficitem A1AT. Celkové množství pacientů indikovaných pro léčbu se v ČR nezmění. Zdravotním pojišťovnám se nezvýší náklady na léčbu. Jen stávající pacienti (a noví) se přesunou do jednotlivých regionálních center u velkých fakultních nemocnic. Je předpoklad přesunu asi 10 pacientů do FNOL z okolního regionu, pokud bude možno zajišťovat předepisování.

Vyplní předseda lékové komise:

Zpracovat podrobnou farmakoeconomickou analýzu k hodnocení nákladové efektivity:

Zpracovaná FE analýza se stává přílohou žádosti.

☐ ANO

☐ NE

Očekávaný roční dopad do rozpočtu FNOL (BIA):

Zpracuje pověřený člen lékové komise.

Vyjádření k žádosti:

☐ Schvaluji

☐ Neschvaluji (důvod)

Povinnost schvalovat nasazení léků jednotlivým pacientům:

☐ ANO

☐ NE

Datum:

Razítko, podpis

Jméno, příjmení:

Razítko, podpis

Hlasování členů Lékové komise FNOL:

Jméno, příjmení	Schvaluji
-----------------	-----------

	☐ ANO	☐ NE
	☐ ANO	☐ NE
	☐ ANO	☐ NE
	☐ ANO	☐ NE
	☐ ANO	☐ NE

Vyplní ekonomický úsek:

Vyjádření vedoucího OZPI ke smluvnímu zajištění (pouze léky se stanovenou úhradou pojišťovny): LP RESPREZA smluvní, vyjádřen u ZP III a LTH. ZP III se vaze na sml. zajištění max. 80% limitu. CL na rok 2024 do 1. 1. 2024. Pomeřovací část (cca 80% limitu). Při přidání poj. z pojišťovny contra. musíme vyjádřit převod prostředků. (paj. VZP) Je informace z ZP, plánovaná léčba u 4 pacientů (aktualizace) - 2 noví, 2 z contra a Thomasové nemají. OZPI u 2 poj. bloku TH a požadavkem na převod prostředků. Informace a vyřízení bude předána na kliniku.		
Jméno: <i>IANA ALEKSIČOVÁ</i>	Datum: <i>16.5.2024</i>	Razítko, podpis: <i>Mgr. Ivana Aleksičová</i> Odbor zdravotních pojištění a zdravotní vedoucí odboru Fakultní nemocnice Olomouc

Vyjádření hlavního ekonoma k dopadu do rozpočtu (akceptovatelný / neakceptovatelný): <i>Viz stanovisko Mgr. Aleksičové. Každého jednoho pacienta předešlým konzultoval s OZPI a léčbu zahájil po projednání.</i>		
Jméno:	Datum:	Razítko, podpis:

Vyplní předseda lékové komise:

Zpracovat podrobnou farmakoeconomickou analýzu k hodnocení nákladové efektivity:

Zpracovaná FE analýza se stává přílohou žádosti.

☒ ANO

☐ NE

Očekávaný roční dopad do rozpočtu FNOL (BIA):

Vyjádření k žádosti:

☒ Schvaluji

☐ Neschvaluji (důvod)

Léková komise souhlasí s použitím léčivého přípravku Respreeza v indikacích dle platné registrační dokumentace.

Povinnost schvalovat nasazení léku jednotlivým pacientům:

☐ ANO

☒ NE

Datum:

Jméno, příjmení:

Razítko, podpis

13.5.2024

doc. MUDr. Karel Urbánek, Ph. D.

43/7
FAKULTNÍ NEMOCNICE OLOMOUČ
Zdravotníků 248/7, 779 00 Olomouc, tel.: 585 632 978
Ústav farmakologie
Přednost: doc. MUDr. Karel Urbánek, Ph.D.

Hlasování členů Lékové komise FNOL:

Jméno, příjmení	Schvaluji
Mgr. Robert Běhal	☒ ANO ☐ NE
prof. MUDr. David Karásek, Ph.D.	☒ ANO ☐ NE
doc. MUDr. Přemysl Falt, Ph.D.	☒ ANO ☐ NE
MUDr. Zdeněk Kojecký, Ph.D.	☒ ANO ☐ NE

Vyplní ekonomický úsek:

Vyjádření vedoucího OZPI ke smluvnímu zajištění (pouze léky se stanovenou úhradou pojišťovny):

Jméno:

Datum:

Razítko,
podpis:

**Vyjádření hlavního ekonoma k dopadu do rozpočtu
(akceptovatelný / neakceptovatelný):**

Jméno:

Datum:

Razítko,
podpis:

Schválení žádosti EN:

☒ ANO

☐ NE

Případný komentář, podmínky schválení:

V interakci komentáře upr. Alžběře
Souhlasím.

Jméno:

Datum:

Razítko,
podpis:

Vyplní obchodní úsek:

Vyjádření vedoucího ONLEK k obchodní strategii dodavatele
(akceptovatelná / neakceptovatelná):

VZ 2024 - 485

souhlasím

Jméno:	Datum: 16. 7. 24	Razítko, podpis: Ing. Kateřina Ondráčková vedoucí oddělení nákupu léků a diagnostik Fakultní nemocnice Olomouc
--------	---------------------	--

Schválení OBN:	☒ ANO	☐ NE
Případný komentář, podmínky schválení:		
Jméno:	Datum: 16. 7. 2024	Razítko, podpis: