

Bratislava, 28. 3. 2023

**Spoločné vyhlásenie Úradu pre dohľad nad zdravotnou
starostlivosťou a Národného inštitútu pre hodnotu a technológie
v zdravotníctve k preskripcii liekov na výnimku**

Úrad pre dohľad nad zdravotnou starostlivosťou (ďalej len „úrad“) upozorňuje na riziká a vážne dôsledky absencie transparentných pravidiel predpisovania a povoľovania špeciálnych liekov na výnimku. Tieto pravidlá by mali zohľadňovať etické, medicínske a súčasne aj ekonomické hľadiská tak, aby v spoločnosti prevládal názor, že sa s verejnými zdrojmi určenými na zdravotníctvo nakladá účelne, spravodlivo a súčasne bez diskriminácie. Nepochybne sú to zložité témy, ale civilizovaná spoločnosť by sa v nich mala vedieť orientovať.

Aktuálny a silne medializovaný prípad 23-mesačnej Editky so spinálnou muskulárnou atrofiou (SMA) typu 2, keď do problematiky vstúpil svojím rozhodnutím súd, len zosilňuje akútnu potrebu mať takéto jasné pravidlá. Úrad nepovažuje za optimálne, aby súdne rozhodnutia suplovali alebo obchádzali odborné procesy Národného inštitútu pre hodnotu a technológie v zdravotníctve (NIHO) a rozhodovacie procesy Ministerstva zdravotníctva SR, ale aj samotných zdravotných poisťovní, ktoré sú zo zákona povinné nakladať s verejnými zdrojmi hospodárne. Pripomíname, že Všeobecná zdravotná poisťovňa, a. s., ktorá je stranou v tomto súdnom spore, žiadosť o uhradenie najdrahšie lieku na svete Zolgensma trikrát zamietla.

Dvojmiliónový liek Zolgensma je určený pre pacientov, ktorí spĺňajú špecifické kritériá. NIHO pracuje na hodnotení tohto lieku a o výsledku bude informovať v apríli. Z odborného pohľadu však už dnes NIHO môže verejnosti poskytnúť niekoľko faktov:

- Držiteľ registrácie lieku Zolgensma (firma Novartis) požiadal o zaradenie lieku do štandardnej úhrady (tzv. kategorizácia) pre pacientov:
 - ✓ ktorým je diagnostikovaná SMA hneď po narodení (tzv. pre-symptomatickí pacienti) a majú do 3 kópií génu SMN2. V klinickej štúdii im bola liečba podaná

do 6. týždňa po narodení. Liečba pre-symptomatických pacientov je podmienená novorodeneckým skríningom, ktorý však na Slovensku ešte štandardne hrazený zdravotnými poisťovňami nie je.

- ✓ s typom SMA 1 a váhou do 13,5 kg, ktorým môže byť liečba podaná do 24. mesiaca po narodení (tzv. symptomatickí pacienti). V klinických štúdiách im však bola liečba podaná oveľa skôr, do 6. mesiaca po narodení, a teda údaje z klinického skúšania o účinku lieku Zolgensma podanom intravenózne po 6. mesiaci nie sú dostupné. Preto symptomatickí pacienti s diagnózou SMA typ 2 nebudú mať prístup k lieku Zolgensma ani po jeho možnom zaradení.
- Držiteľ registrácie lieku Zolgensma predpokladá celoživotný prínos lieku napriek tomu, že pacienti boli v klinických skúškach sledovaní len po dobu maximálne 95 mesiacov.
- Držiteľ registrácie vo svojej žiadosti taktiež nepočíta s ekonomickými dopadmi nežiadúcich účinkov lieku napriek nedávnym medializovaným informáciám o zlyhaní pečene dvoch pacientov z dôvodu užívania lieku Zolgensma.
- Držiteľ registrácie žiada o nastavenie takého obmedzenia, v ktorom pacienti nebudú môcť mať uhradenú potenciálnu následnú liečbu drahými alternatívnymi liečivami, ktoré sú už v štandardnej úhrade (nusinersen a risdiplam) napriek tomu, že v klinickom skúšaní a rovnako aj v klinickej praxi na Slovensku prešla značná časť pacientov na spomenuté liečivá. Tento aspekt má zásadný vplyv na celkové náklady vynaložené na liečbu ochorenia SMA, čo je umocnené nedostatkom klinických údajov ohľadom možnej interakcie medzi menovanými liečivami.

Držiteľ registrácie žiada o zaradenie lieku Zolgensma do štandardnej úhrady. Práve toto je mechanizmus, ktorým na základe odbornosti rozhoduje Ministerstvo zdravotníctva SR o úhrade liekov z verejného zdravotného poistenia s cieľom jasného definovania rozsahu nároku na zdravotnú starostlivosť. Rozhodnutie súdu o úhrade lieku pre pacientku s SMA typu 2 môže do tejto praxe podstatne zasiahnuť.

Za situácie, keď sú zdroje z verejného zdravotného poistenia obmedzené, je potrebné veľmi starostlivo zvažovať liečbu prostredníctvom extrémne nákladných a najmä nekategorizovaných liekov, pri ktorých klinická účinnosť nie je podložená presvedčivými dôkazmi. „Tak, ako sme uviedli už v [Správe o stave vykonávania verejného zdravotného poistenia za rok 2021](#), úrad víta zriadenie NIHO, druhej nezávislej inštitúcie v zdravotníctve, ktorej kľúčovou úlohou je hodnotiť klinické i ekonomické aspekty nákupu liekov hrađených z verejného zdravotného poistenia, tak, aby bol celý proces transparentný a spravodlivý ku všetkým. Veríme, že kontroverzné rozhodnutie súdu, ktoré nateraz opomenulo, že je pre tieto účely od 1. 1. 2022 zriadená inštitúcia fungujúca podľa európskeho štandardu, sa nestane precedensom,“ dodala predsedníčka úradu Ing. Renáta Bláhová, MBA, FCCA, LL.M.