
**SPOLEČNÉ STANOVISKO VZP ČR A SPOLEČNOSTI
DĚTSKÉ NEUROLOGIE ČESKÉ LÉKAŘSKÉ SPOLEČNOSTI
JANA EVANGELISTY PURKYNĚ (SDN ČLS JEP)**

**DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ
S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY NUSINERSEN V PEDIATRICKÉ
POPULACI A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH
CENTER**

KOMISE PRO NEHRAZENÉ LP

ÚSTŘEDÍ VZP ČR
5. 12. 2019

PREAMBULE

Zástupci Všeobecné zdravotní pojišťovny České republiky (dále jen „VZP ČR“) a zástupci Společnosti dětské neurologie České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně (dále také jen „SDN ČLS JEP“) se shodují na medicínské potřebě zajištění moderní léčby dětských pacientů se spinální svalovou atrofií (dále také jen „SMA“).

SPOLEČNÉ STANOVISKO

Za účelem potřeby upřesnění odborných doporučení pro použití léčivých přípravků (dále jen „LP“) s obsahem účinné látky NUSINERSEN u dětských pacientů se spinální svalovou atrofií formulují VZP ČR a SDN ČLS JEP toto **SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY NUSINERSEN V PEDIATRICKÉ POPULACI A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.**

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ

LP s obsahem účinné látky NUSINERSEN (ATC skupina M09AX07; LP Spinraza) jsou indikovány pacientům do dovršení 19 let věku (18 let + 364 dní) v souladu s níže uvedenými doporučenými podmínkami použití.

Indikační kritéria léčby Nusineresenem která jsou společná pro všechny typy SMA:

- Geneticky potvrzená diagnóza 5qSMA (homozygotní delece či heterozygotní delece a mutace v genu SMN1).
- Stanovení počtu kopií SMN2 genu – průkaz minimálně 2 kopie.
- Zahájení léčby u všech symptomatických dětských pacientů bez rozdílu věku i typu SMA – SMA typ I, II, III.
- Klinické hodnocení léčby je nutné provádět před nasazením léčby, následně po 6 měsících léčby škálou CHOP INTEND, HFMSE a 6MWT - výběr škály dle tíže obtíží a věku pacienta.
- Ukončení léčby pouze v případech atypické rychlé progresse nemoci či v případě nespolupracující rodiny.

Indikační kritéria léčby Nusinersenem pro asymptomatické pacienty

- Zahájení léčby u pacientů s geneticky potvrzenou vlohou pro 5q SMA s 2 či 3 kopiemi SMN2 genu
- Klinické hodnocení léčby je nutné provádět před nasazením léčby, následně po 6 měsících léčby škálou CHOP INTEND, HFMSE, RULM či 6MWT - výběr škály dle tíže obtíží a věku pacienta.
- Ukončení léčby pouze v případech atypické rychlé progresse nemoci či v případě nespolupracující rodiny.

Vylučující kritéria léčby Nusinersen která platí pro všechny typy SMA:

- Nemožnost provedení lumbální punkce.
- Symptomatická léčba, která neodpovídá mezinárodním standardům péče.
- Nespolupracující rodina pacienta – vždy zvažováno individuálně ošetřujícím lékařem.
- Jiné závažné interní onemocnění nesouvisející se základní diagnózou – vždy zvažováno individuálně ošetřujícím lékařem.

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládán počet pediatrických pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky NUSINERSEN cca **48 za VZP ČR.**

DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB

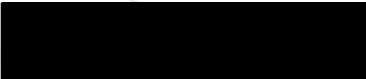
Neuromuskulární centra pro dětské pacienty níže uvedených poskytovatelů:

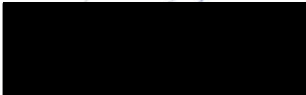
- 1) FN Motol,
- 2) FN Brno,
- 3) FN Ostrava,
- 4) Thomayerova nemocnice.

PŘEDPOKLÁDANÝ FINANČNÍ DOPAD

Předpokládaný dopad hrazení LP s obsahem účinné látky NUSINERSEN u pediatrických pacientů (ATC skupina M09AX07; LP Spinraza) do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 396 mil. Kč za rok.**

V Praze dne 5. 12. 2019


.....
Ing. David Šmehlík, MHA
náměstek ředitele VZP ČR pro zdravotní péči


.....
MUDr. Jana Haberlová, Ph.D.
vědecký sekretář Společnosti dětské neurologie ČLS JEP