

---

**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

[Redacted signature]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted signature]

[Redacted text]

[Redacted text]