

Sp. zn.: SUKLS209475/2025

Vyřizuje: Jitka Berdárová

Datum: 11. 8. 2025

Vyvěšeno dne: 11. 8. 2025

VÝZVA K SOUČINNOSTI POSKYTOVÁNÍ INFORMACÍ

Dne 30. 5. 2025 obdržel Státní ústav pro kontrolu léčiv se sídlem Šrobárova 49/48, 100 00 Praha 10 (dále jen „Ústav“) žádost o stanovení maximální ceny a výše a podmínek první dočasné úhrady ze zdravotního pojištění léčivého přípravku:

kód SÚKL: název:
0272072 **VYVGART**
(dále jen „LP VYVGART“)

doplňek názvu:
1000MG INJ SOL 1X5,6ML

podanou společností

argenx BV

IČ: 0818.292.196
Industriepark-Zwijnaarde 7, 9052 Gent
Belgické království

Zastoupena:

Medison Pharma s.r.o.

IČ: 08818126
Plynární 1617/10, 17000 Praha 7
(dále jen „argenx BV“ nebo „žadatel“)

podle ustanovení § 39d zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „zákon o veřejném zdravotním pojištění“).

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS209475/2025, vedle žadatele, s těmito účastníky řízení:

Česká průmyslová zdravotní pojišťovna

IČ: 47672234
Jeremenkova 161/11, 70300 Ostrava – Vítkovice

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.

IČ: 63830515
Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha Žižkov

Oborová zdravotní pojišťovna zaměstnanců bank, pojišťoven a stavebnictví

IČ: 47114321
Roškotova 1225/1, 140 00 Praha 4

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.

IČ: 63830515
Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha Žižkov

RBP, zdravotní pojišťovna

IČ: 47673036
Michálkovická 967/108, 710 00 Slezská Ostrava

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.

IČ: 63830515

Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha Žižkov

Vojenská zdravotní pojišťovna České republiky

IČ: 47114975

Drahobejlova 1404/4, 190 00 Praha 9

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.

IČ: 63830515

Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha Žižkov

Všeobecná zdravotní pojišťovna České republiky

IČ: 41197518

Orlická 2020/4, 130 00 Praha 3

Zaměstnanecká pojišťovna Škoda,

IČ: 46354182

Husova 302, 293 01 Mladá Boleslav

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.

IČ: 63830515

Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha Žižkov

Zdravotní pojišťovna ministerstva vnitra České republiky

IČ: 47114304

Vinohradská 2577/178, 130 00 Praha 3

Zastoupena:

Svaz zdravotních pojišťoven ČR, z. s.

IČ: 63830515

Náměstí Winstona Churchilla 1800/2, 130 00 Praha Žižkov

Vzhledem k povinnosti účastníků řízení stanovené dle ustanovení § 50 odst. 2 zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „správní řád“) poskytovat správnímu orgánu při opatřování podkladů pro vydání rozhodnutí součinnost, Ústav

vyzývá

účastníka řízení argenx BV k součinnosti při opatřování podkladů pro vydání rozhodnutí spočívající v **předložení následujícího:**

I. ANALÝZA NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY

1) Předložení modelu

Žadatel uvedl, že v předložené analýze nákladové efektivity byl použit *Markovův kohortový* model. Nicméně model nebyl Ústavu předložen. Ústav uvádí, že vzhledem k níže uvedeným nedostatkům a nejasnostem ve vstupních údajích, doporučuje žadateli předložení farmakoekonomického modelu.

Skutečnost, že žadatel Ústavu nepředložil farmakoekonomický model, vede k tomu, že je Ústav následně nucen požadovat přepracování analýzy nákladové efektivity a dopadu na rozpočet. Ústav doporučuje žadateli, aby v rámci správních řízení předkládal mimo jiné také funkční model, neboť tak může dojít k podstatnému urychlení v oblasti hodnocení předložených farmakoekonomických podkladů s ohledem na to, že Ústav může snadno zjistit, jaký vliv mají požadované úpravy modelu na finální výsledek analýzy (tj. na hodnotu ICER nebo dopad na rozpočet), a přistupovat k vyzývání účastníků řízení jen v závažných situacích. Předložený model (soubor v programu Microsoft

Excel, TreeAge apod.) lze označit za předmět obchodního tajemství podle ustanovení § 39f odst. 11 zákona o veřejném zdravotním pojištění.

2) Mortalita

Žadatel použil údaje o úmrtnosti obecné populace dle věku a pohlaví z úmrtnostních tabulek pro Českou republiku za rok 2021⁵. Vzhledem k tomu, že Český statistický úřad již zveřejnil aktuální úmrtnostní tabulky za rok 2024, a s ohledem na skutečnost, že data za rok 2021 byla významně ovlivněna pandemií COVID-19⁶, **Ústav žádá o jejich aktualizaci dle nejnovějších údajů za rok 2024.**

3) Redukce dávek kortikosteroidů (KS) při MG-ADL skóre < 5

Na základě údajů z běžné klinické praxe v USA, které žadatel doložil v režimu obchodního tajemství v odpovědi na výzvu k součinnosti ve správním řízení vedeném pod sp. zn. SUKLS127032/2023 (č. j. sukl238351/2023), nastavil žadatel v modelu, že pacienti s MG-ADL skóre < 5 přejdou na nízké dávkování KS. Údaje z USA nicméně prokazují snížení průměrných dávek KS z 23,9 mg/den na 20,9 mg/den u pacientů užívající KS 3 měsíce před zahájením léčby LP VYVGART. Hladina užívání zůstala tedy nad hranicí 10 mg/den ekvivalentu prednisolonu, která definuje vysoké/nízké dávkování KS v modelu. Ústav proto nepovažuje použití nízkého dávkování KS při MG-ADL skóre < 5 za dostatečně podložené. **Z tohoto důvodu požaduje, aby v základním scénáři model neuvažoval s redukcí dávek KS. Přechod na nízké dávkování KS u pacientů s MG-ADL skóre < 5 žádá Ústav zohlednit pouze v rámci alternativního scénáře.**

4) Doba bez léčby mezi léčebnými cykly (off-treatment perioda)

Žadatel v základním scénáři uvažoval off-treatment periodu v délce 6 týdnů. V souladu s hodnocením ve správním řízení vedeném pod sp. zn. SUKLS127032/2023 Ústav tuto délku periody v základním scénáři akceptuje. **Nadto Ústav požaduje předložit v rámci analýzy scénářů také varianty s délkou off-treatment periody 4 týdnů a 8 týdnů.**

5) Náklady

Relativní dávková intenzita u VYVGART s.c.

Žadatel uvažoval relativní dávkovou intenzitu odpovídající hodnotě 95,5 %, která byla pozorována v klinické studii ADAPT+⁷. K tomu Ústav uvádí, že v uvedené studii byl hodnocen přípravek VYVGART v intravenózní formě (i.v.), a proto požaduje zohlednění **relativní dávkové intenzity dle výsledků klinické studie ADAPT-SC+⁴, v níž byl hodnocen subkutánní přípravek (s.c.). Zároveň Ústav z důvodu přezkoumatelnosti žádá o doložení odpovídajících podkladů k této hodnotě.**

Náklady na administraci VYVGART s.c.

Z tabulky G-6 „Rozpis diskontovaných nákladů dle kategorií“ ve strukturovaném podání je zřejmé, že žadatel započítal náklady na administraci LP VYVGART s.c. ve stejné výši jako u LP VYVGART i.v. ve správním řízení vedeném pod sp. zn. SUKLS127032/2023. K tomu Ústav uvádí, že s ohledem na subkutánní lékovou formu daného přípravku nejsou tyto náklady relevantní, **a proto požaduje, aby nebyly v analýze zohledněny.**

Náklady na ostatní léčivé přípravky

Z tabulky G-6 „Rozpis diskontovaných nákladů dle kategorií“ ve strukturovaném podání je zřejmé, že žadatel uvažoval výši nákladů na ostatní léčivé přípravky shodně s náklady uvedenými ve správním řízení vedeném pod sp. zn. SUKLS127032/2023. Ústav však konstatuje, že tyto údaje již nejsou aktuální, **a proto požaduje jejich aktualizaci podle platného Seznamu cen a úhrad LP/PZLÚ (SCAU).**

Náklady na zdravotní výkony a náklady vycházející z DRG kódů

Z tabulky G-6 „Rozpis diskontovaných nákladů dle kategorií“ ve strukturovaném podání je zřejmé, že žadatel převzal výši nákladů na zdravotní výkony a náklady vycházející z DRG kódů ve stejné výši jako ve správním řízení vedeném pod sp. zn. SUKLS127032/2023. Ústav konstatuje, že tyto údaje již nejsou aktuální, **a proto požaduje jejich aktualizaci v souladu s platnou legislativou a verzí CZ-DRG 7.0.**

6) Analýza senzitivity

Žadatel s odkazem na správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS127032/2023 nepředložil analýzu senzitivity. Ústav k tomu uvádí, že dle platné metodiky Ústavu „Postup pro posuzování analýzy nákladové efektivity“ (SP-CAU-028) je

analýza senzitivity nedílnou součástí každého farmakoekonomického hodnocení. **Ústav proto požaduje její předložení po aktualizaci se zohledněním požadavků uvedených výše. Dále Ústav požaduje, aby spolu s výsledky analýzy senzitivity byla předložena také tabulka obsahující všechny testované parametry, včetně hodnot použitých v základním scénáři i v samotné analýze senzitivity.**

II. Analýza dopadu na rozpočet

1) Náklady

Ústavu není zřejmé, zda byly v analýze dopadu na rozpočet zohledněny pouze náklady na léčivý přípravek VYVGART, nebo zda byly zahrnuty i náklady spojené s jeho administrací. **Pokud byly do analýzy zahrnuty také náklady na administraci, Ústav požaduje, aby tyto náklady nebyly uvažovány – viz část Analýza nákladové efektivity výše.**

Vzhledem k tomu, že náklady uvažované v analýze dopadu na rozpočet byly převzaty z analýzy nákladové efektivity, **Ústav požaduje aktualizovat náklady v souladu s požadavky uvedenými v části Analýza nákladové efektivity.**

2) Analýza senzitivity

Žadatel s odkazem na správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS127032/2023 nepředložil analýzu senzitivity. Ústav k tomu uvádí, že dle platné metodiky Ústavu „Postup pro posuzování analýzy dopadu na rozpočet“ (SP-CAU-028) má být vždy předložena analýza senzitivity. **Ústav proto požaduje její předložení po aktualizaci se zohledněním požadavků uvedených výše, včetně uvedení použitých mezních hodnot.**

Dále Ústav požaduje otestování parametru „off-treatment perioda“ a to při dolní mezi 4 týdny a horní mezi 8 týdnů.

Reference:

1. Howard JF Jr, Bril V, Vu T, Karam C, Peric S, Margania T, Murai H, Bilinska M, Shakarishvili R, Smilowski M, Guglietta A, Ulrichs P, Vangeneugden T, Utsugisawa K, Verschuuren J, Mantegazza R; ADAPT Investigator Study Group. Safety, efficacy, and tolerability of efgartigimod in patients with generalised myasthenia gravis (ADAPT): a multicentre, randomised, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet Neurol.* 2021 Jul;20(7):526-536. doi: 10.1016/S1474-4422(21)00159-9. Erratum in: *Lancet Neurol.* 2021 Aug;20(8):e5. PMID: 34146511.
2. Assessment report. Vyvgart. Procedure No. EMEA/H/C/005849/0000. European Medicines Agency. EMA/641081/2022. 23 June 2022.
3. Howard JF, Bril V, Vu T, Karam C, Peric S, De Blecker JL, et al. Long-term safety, tolerability, and efficacy of efgartigimod (ADAPT+): interim results from a phase 3 open-label extension study in participants with generalized myasthenia gravis. *Front Neurol.* 2023;14:1284444.
4. Howard JF, Vu T, Li G, Korobko D, Smilowski M, Liu L, et al. Subcutaneous efgartigimod PH20 in generalized myasthenia gravis: A phase 3 randomized noninferiority study (ADAPT-SC) and interim analyses of a long-term open-label extension study (ADAPT-SC+). *Neurotherapeutics.* Zář 2024;21(5):e00378.
5. Český statistický úřad. Úmrtnostní tabulky za ČR, regiony soudržnosti a kraje - 2020-2021. [11. 7. 2025] Dostupné z: <https://csu.gov.cz/produkty/umrtnostni-tabulky-za-cr-regiony-soudrznosti-a-kraje-20202021>.
6. Český statistický úřad. Covid-19 v roce 2021 usmrtil 25,5 tisíce obyvatel Česka. [11. 7. 2025] Dostupné z: <https://csu.gov.cz/produkty/covid-19-v-roce-2021-usmrtil-255-tisice-obyvatel-ceska>.
7. ClinicalTrials.gov. ADAPT+. [11. 7. 2025] Dostupné z: <https://clinicaltrials.gov/search?intr=NCT03770403>.



Vyvěšeno dne: 11. 8. 2025

Státní ústav pro kontrolu léčiv se sídlem Šrobárova 49/48, 100 00 Praha 10 (dále jen „Ústav“) jako správní orgán příslušný na základě ustanovení § 15 odst. 10 zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „zákon o veřejném zdravotním pojištění“), v souladu s tímto zákonem a s ustanoveními zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „správní řád“) vydává toto

USNESENÍ

kterým společnosti:

argenx BV

IČ: 0818.292.196

Industriepark-Zwijnaarde 7, 9052 Gent

Belgické království

Zastoupena:

Medison Pharma s.r.o.

IČ: 08818126

Plynární 1617/10, 17000 Praha 7

(dále jen „žadatel“)

jako účastníkovi správního řízení vedeného pod sp. zn. SUKLS209475/2025 stanovuje v souladu s ustanovením § 39 odst. 1 správního řádu lhůtu 10 dní ode dne doručení tohoto usnesení k poskytnutí podkladů uvedených ve výzvě k součinnosti ze dne 11. 8. 2025.

Odůvodnění

Dne 30. 5. 2025 obdržel Ústav žádost žadatele o stanovení maximální ceny a výše a podmínek první dočasné úhrady ze zdravotního pojištění léčivého přípravku:

kód SÚKL:

0272072

název:

VYVGART

doplňk názvu:

1000MG INJ SOL 1X5,6ML

Doručením žádosti bylo zahájeno správní řízení vedené pod sp. zn. SUKLS209475/2025.

Vzhledem k tomu, že Ústav nedisponuje všemi potřebnými podklady pro vydání rozhodnutí v tomto správním řízení, vyzval účastníka řízení argenx BV v souladu s ustanovením § 50 odst. 2 správního řádu k součinnosti spočívající v poskytnutí údajů potřebných pro rozhodnutí a určil mu přiměřenou lhůtu k poskytnutí podkladů uvedených ve výzvě v souladu s ustanovením § 39 odst. 1 správního řádu. Tato lhůta byla stanovena v délce 10 dní, a to vzhledem ke lhůtám stanoveným zákonem o veřejném zdravotním pojištění pro správní řízení o stanovení maximální ceny a výše a podmínek první dočasné úhrady ze zdravotního pojištění léčivého přípravku. Pokud účastník řízení předpokládá nebo zjistí časovou náročnost na doložení požadovaných podkladů delší, nežli je výše stanovená lhůta, Ústav doporučuje využít institut přerušení řízení dle ustanovení § 64 odst. 2 správního řádu, díky kterému se staví lhůta pro vydání rozhodnutí.

Poučení o odvolání

Proti tomuto usnesení je možno podat podle ustanovení § 76 odst. 5 správního řádu, u Ústavu odvolání, a to v souladu s ustanovením § 83 odst. 1 správního řádu ve lhůtě 15 dnů ode dne jeho doručení. Odvolání nemá odkladný účinek. O odvolání rozhoduje Ministerstvo zdravotnictví ČR.

Otisk úředního razítka

Mgr. Eva Forgáčová
vedoucí Oddělení právní podpory cenové a
úhradové regulace
Státního ústavu pro kontrolu léčiv