

Liečivo nusinersen (Spinraza) na liečbu 5q spinálnej svalovej atrofie v žiadosti bez nutnosti dodania farmakoekonomického rozboru

Hodnotenie zdravotníckej technológie

Hodnotenie liekov za účelom splnenia legislatívnych požiadaviek

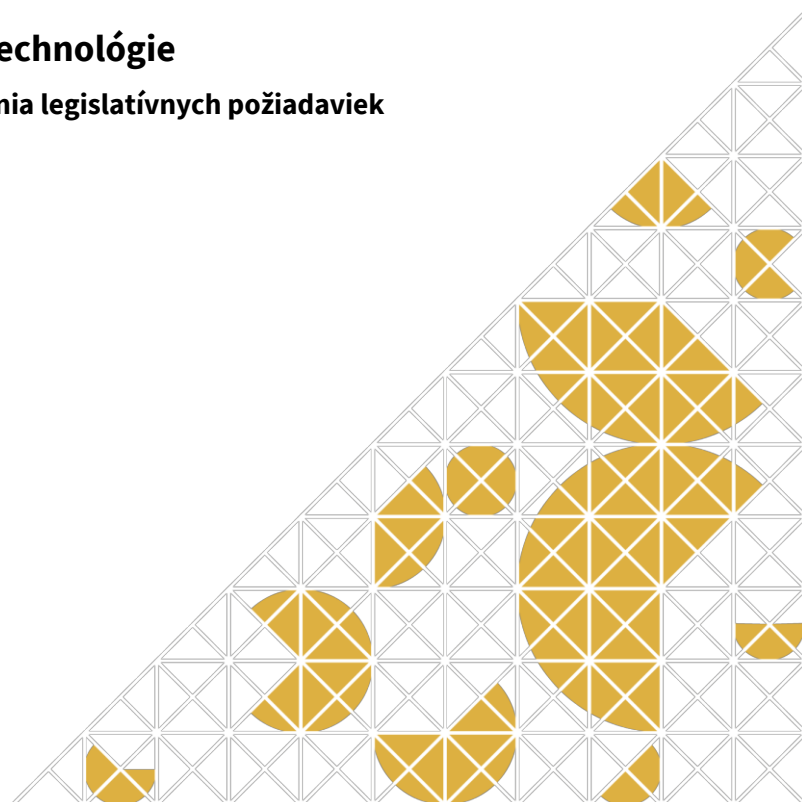
Číslo žiadosti:
39590, 39591

ATC skupina:
M09AX07

ŠÚKL kód:
2398F, 2399F

Publikované dňa:
07.09.2026

Link:
<https://niho.sk/publikovane-projekty/>



Záver odborného hodnotenia

Odporúčanie

Podľa § 3 zákona č. 358/2021 Z. z. o Národnom inštitúte pre hodnotu a technológie v zdravotníctve (NIHO) a o zmene a doplnení niektorých zákonov NIHO odporúča **nevyhovieť** žiadostiam o zaradenie liekov:

- Spinraza 28 mg injekčný roztok, sol inj 1x5 ml/28 mg (liek.inj.skl.) [1] a
- Spinraza 50 mg injekčný roztok, sol inj 1x5 ml/50 mg (liek.inj.skl.) [2]

do zoznamu kategorizovaných liekov (ZKL), **pokiaľ držiteľ registrácie (DR) neuzatvorí zmluvu o podmienkach úhrady posudzovaných liekov** (MEA, z angl. managed entry agreement) tak, aby náklady z verejného zdravotného poistenia (VZP) za liečbu liekmi Spinraza 28 mg a Spinraza 50 mg boli nižšie ako náklady za liečbu liekom Spinraza 12 mg.

Podľa § 16 ods. 4 písm. g) zákona č. 363/2011 Z. z. „do ZKL nemožno zaradiť liek, ak nákladová efektívnosť použitia lieku pri zohľadnení indikácií, nežiaducich účinkov, dávkovania a predpokladanej dĺžky liečby potrebnej na dosiahnutie požadovaného terapeutického účinku nedosahuje nákladovú efektívnosť iných medicínskych intervencií uhrádzaných na základe verejného zdravotného poistenia“.

Táto podmienka bude vzhľadom na predpokladaný rovnaký terapeutický účinok podávania lieku Spinraza 12 mg (režim s nízkou dávkou) a podávania liekov Spinraza 28 mg a Spinraza 50 mg (režim s vysokou dávkou) a vzhľadom na frekvenciu dávkovania v oboch režimoch [3] splnená iba v prípade, že:

- **dohodnutá úhrada za liek Spinraza 28 mg injekčný roztok nepresiahne dôvernú úhradu za liek Spinraza 12 mg injekčný roztok podľa zmluvy č. 1076/2023,**
- **dohodnutá úhrada za liek Spinraza 50 mg injekčný roztok nepresiahne dvojnásobok dôvernej úhrady za liek Spinraza 12 mg injekčný roztok podľa zmluvy č. 1076/2023,**
- **prípadné iné podmienky dohodnuté v zmluve budú rovnaké ako v zmluve č. 1076/2023 pre liek Spinraza 12 mg.**

Odporúčame zvážiť adresovanie v MEA zmluve limitáciu tohto odporúčania pri prechode z režimu s nízkou dávkou na vysokú dávkou. Napríklad nasledovným spôsobom: dohodnutá úhrada za liek Spinraza 50 mg injekčný roztok nepresiahne dôvernú úhradu za liek Spinraza 12 mg injekčný roztok podľa zmluvy č. 1076/2023 v prípade, že je 50 mg dávka podaná pri zmene z režimu s nízkou dávkou na režim s vysokou dávkou.

Odôvodnenie

Držiteľ registrácie (DR) podal žiadosti o zaradenie liekov Spinraza 28 mg injekčný roztok a Spinraza 50 mg injekčný roztok (liečivo nusinersen) do ZKL. Predmetný liek charakteristikou nepatrí do žiadnej referenčnej skupiny zaradenej v ZKL [4].

DR nepredložil farmakoekonomický rozbor (FER) lieku s odvolaním sa na § 10 ods. 6 písm. a) zákona 363/2011 Z. z. o rozsahu a podmienkach úhrady liekov, zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín na základe verejného zdravotného poistenia a o zmene a doplnení niektorých zákonov (ďalej len „zákon“).

NIHO nevypracovalo podrobné hodnotenie, keďže v predmetnej žiadosti sa skúma formálna správnosť žiadosti a jej príloh, čo je úlohou Ministerstva zdravotníctva (MZ SR).

Podľa § 10 ods. 6 písm. a) zákona žiadateľ nemusí priložiť k žiadosti FER lieku, ak návrh maximálnej výšky úhrady zdravotnej poisťovne (ÚZP) za štandardnú dávku liečiva (ŠDL) neprevyšuje maximálnu výšku ÚZP za ŠDL určenú pre referenčnú skupinu zaradenú v ZKL, do ktorej patrí liek s rovnakou účinnou látkou a liekovou formou ako posudzovaný liek alebo ak výška nákladov na jeden deň liečby alebo jeden cyklus liečby posudzovaným liekom nepresahuje výšku nákladov na jeden deň liečby alebo jeden cyklus liečby liekom, ktorý má rovnakú účinnú látku a liekovú formu ako posudzovaný liek a patrí do referenčnej skupiny zaradenej v ZKL a indikácia uvedená v SPC posudzovaného lieku alebo návrh IO je rovnaký ako indikácia uvedená v SPC alebo IO určené pre referenčnú skupinu zaradenú v ZKL, do ktorej patrí liek s rovnakou účinnou látkou a liekovou formou ako posudzovaný liek.

V ZKL [4] je v súčasnosti zaradený liek:

- Spinraza 12 mg injekčný roztok, sol inj 1x5 ml/12 mg (liek.inj.skl.) [3],

ktorý obsahuje rovnakú účinnú látku a má rovnakú liekovú formu ako lieky, ktoré sú predmetom žiadostí. Požadované IO pre lieky, ktoré sú predmetom žiadostí, je totožné s IO uvedeným pre liek Spinraza 12 mg. Výška úhrady za liek Spinraza 12 mg je dôverná a upravuje ju zmluva o podmienkach úhrady lieku č. 1076/2023.

V žiadostiach, ktoré sú predmetom tohto hodnotenia, požaduje DR za liek

- Spinraza 28 mg injekčný roztok, sol inj 1x5 ml/28 mg (liek.inj.skl.) ÚZP na úrovni 258,360 € / ŠDL a
- Spinraza 50 mg injekčný roztok, sol inj 1x5 ml/50 mg (liek.inj.skl.) ÚZP na úrovni 260,434 € / ŠDL

Požadovaná úhrada je nižšia ako oficiálna úhrada lieku Spinraza 12 mg (ÚZP na úrovni 591,182 € / ŠDL) s rovnakou účinnou látkou a liekovou formou ako liek Spinraza 28 mg a Spinraza 50 mg.

Dávkovací režim posudzovaných liekov (režim s vysokou dávkou) sa od v súčasnosti zaradenej liečby (režim s nízkou dávkou) líši vo frekvencii nasycovacej dávky a vo veľkosti udržiavacej dávky [3]:

- Režim s nízkou dávkou:
 - Tento režim pozostáva z nasycovacej dávky 12 mg na 0., 14., 28. a 63. deň a následne udržiavacej dávky 12 mg každé 4 mesiace.
- Režim s vysokou dávkou:
 - Nasycovacia dávka 50 mg sa má podať na 0. a 14. deň. Následne sa má podávať udržiavacia dávka 28 mg každé 4 mesiace.

Nákladovo efektívna úhrada preto musí byť stanovená na základe cyklov (v tomto prípade dávkovacích režimov), nie na základe ÚZP. Výška nákladov na jeden cyklus liečby posudzovanými liekmi Spinraza 28 mg a Spinraza 50 mg, pri zohľadnení dávkovania, presahuje výšku nákladov na jeden cyklus liečby liekom Spinraza 12 mg, ktorý je uhrádzaný z VZP (pri porovnaní požadovanej úhrady hodnoteného lieku a oficiálnej úhrady zaradeného lieku).

Liek Spinraza 28 mg bude v prípade zaradenia do ZKL nahrádzať liek Spinraza 12 mg v udržiavacej dávke (pri rovnakej frekvencii dávkovania) a liek Spinraza 50 mg bude nahrádzať 2 podania lieku Spinraza 12 mg v nasycovacej dávke (pri polovičnom počte podaní). Vzhľadom na existenciu MEA zmluvy pre liek Spinraza 12 mg predpokladáme, že náklady na režim s nízkou dávkou sú v skutočnosti nižšie než oficiálna úhrada podľa ZKL. Aby boli lieky Spinraza 28 mg a Spinraza 50 mg nákladovo efektívne, je potrebné uzatvoriť MEA zmluvu, podľa ktorej dohodnutá úhrada za liek Spinraza 28 mg nemôže presiahnuť dôvernú úhradu za liek Spinraza 12 mg a dohodnutá úhrada za liek Spinraza 50 mg nemôže presiahnuť dvojnásobok dôvernej úhrady za liek Spinraza 12 mg, podľa zmluvy č. 1076/2023. Zároveň je potrebné, aby boli dôverné podmienky úhrady nastavené rovnako ako pri lieku Spinraza 12 mg v zmluve č. 1076/2023.

Upozorňujeme, že analýza nákladovej efektívnosti posudzovaných liekov v režime s vysokou dávkou, ktorú vykonalo NIHO, je veľmi zjednodušená a je spojená s nasledujúcimi limitáciami:

- Analýza neberie do úvahy skorší prechod na podávanie udržiavacej dávky v režime s vysokou dávkou. V ňom dochádza k prvej udržiavacej dávke v deň 136, zatiaľ čo v režime s nízkou dávkou to je v deň 185.
- NIHO odporúčaná úhrada za hodnotené lieky nebude v prípade zmeny dávkovacieho režimu nákladovo efektívna.
 - Dávkovanie lieku Spinraza podľa SPC umožňuje prechod z režimu s nízkou dávkou na režim s vysokou dávkou [3]. V prípade prechodu pacient jednorazovo dostane namiesto 12 mg udržiavacej dávky 50 mg nasycovaciu dávku a následne prejde na vyššiu udržiavaciu dávku 28 mg. V tomto prípade bude jednorazovo dochádzať k administrácii vyššej dávky, ktorá vedie k režimu, ktorý nie je nákladovo efektívny.
 - Preto odporúčame zvážiť adresovanie tejto limitácie v MEA zmluve. Napríklad nasledovným spôsobom: dohodnutá úhrada za liek Spinraza 50 mg injekčný roztok nepresiahne dôvernú úhradu za liek Spinraza 12 mg injekčný roztok podľa zmluvy č. 1076/2023 v prípade, že je 50 mg dávka podaná pri zmene z režimu s nízkou dávkou na režim s vysokou dávkou.

Obsah

Záver odborného hodnotenia	2
Obsah	4
Použité skratky	4
Časový prehľad priebehu hodnotenia	5
Informácie o dokumente	6
1. Zdravotný problém a postavenie v klinickej praxi	7
2. Hodnotenie klinickej účinnosti a bezpečnosti	7
3. Hodnotenie nákladovej efektívnosti	7
4. Hodnotenie dopadu na rozpočet	7
5. Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty	7
Zdroje	8

Použité skratky

FER	Farmakoekonomický rozbor
MEA	Dohoda o riadenom vstupe, na Slovensku ide o zmluvu o podmienkach úhrady lieku, z angl. managed entry agreement
MZ SR	Ministerstvo zdravotníctva Slovenskej republiky
NIHO	Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
SPC	Súhrn charakteristických vlastností lieku, z angl. summary of product characteristics
ŠDL	Štandardná dávka liečiva
ÚZP	Úhrada zdravotnej poisťovne
VZP	Verejné zdravotné poistenie
ZKL	Zoznam kategorizovaných liekov

Časový prehľad priebehu hodnotenia

Podanie žiadosti o kategorizáciu	30.04.2026
Začatie plynutia lehoty na vydanie rozhodnutia vo veci kategorizácie	01.05.2026
Vydanie NIHO hodnotenia	07.09.2026
Celkové trvanie hodnotenia (zohľadňuje prerušenia)	130 dní

Informácie o dokumente

Autori

Mgr. Veronika Medová, PhD.

Mgr. Katarína Colotková

Rola autorov: VM je prvým autorom hodnotenia; KC je druhá autorka hodnotenia.

Vydavateľ a zodpovedný za obsah

Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve

Zámocké schody 2/A, 811 01, Bratislava

kancelaria@niho.sk

Toto hodnotenie má byť citované nasledovne

Medová V., Colotková K.: Liečivo nusinersen (Spinraza) na liečbu 5q spinálnej svalovej atrofie v žiadosti bez nutnosti dodania farmako-ekonomického rozboru. Hodnotenie liekov za účelom splnenia legislatívnych požiadaviek; 2026; Bratislava: NIHO.

Konflikt záujmov

Všetci autori, ktorí sa podieľali na tvorbe tohto hodnotenia, vyhlásili, že nemajú žiadny konflikt záujmov vo vzťahu k predmetnej technológii v súlade s internou smernicou NIHO o transparentnosti vypracovanou podľa princípov Vykonávacieho nariadenia Komisie (EÚ) 2024/2745 z 25. októbra 2024, ktorým sa stanovujú pravidlá uplatňovania nariadenia Európskeho parlamentu a Rady (EÚ) 2021/2282, pokiaľ ide o riadenie konfliktov záujmov v rámci spoločnej práce Koordinačnej skupiny členských štátov pre hodnotenie zdravotníckych technológií a jej podskupín. Konflikty záujmov klinických odborníkov a zástupcov patientskych združení boli vyhodnotené na základe odpovedí vo formulári a sú pomenované v Apendixe.

Vyhlásenie

Osoby uvedené v časti Podpora nie sú spoluautormi hodnotenia a s jeho obsahom nemusia všetci súhlasiť. NIHO je zodpovedný za chyby, ktoré mohli v hodnotení nastať. Za konečnú verziu a odporúčanie plne zodpovedá NIHO. Pri tvorbe obsahu a/alebo štruktúry tohto hodnotenia bol použitý HTA Core Model® verzia 3.0, vyvinutý v rámci EUnetHTA. Používanie Core Modelu nezaručuje presnosť, úplnosť, kvalitu alebo užitočnosť akýchkoľvek informácií alebo služieb vytvorených alebo poskytovaných použitím modelu.

Zadanie hodnotenia prebehlo na základe zákonných povinností NIHO vyplývajúcich zo zákona č. 358/2021 Z. z.

1. Zdravotný problém a postavenie v klinickej praxi

Vzhľadom k typu žiadosti nie je táto časť pre hodnotenie relevantná.

2. Hodnotenie klinickej účinnosti a bezpečnosti

Vzhľadom k typu žiadosti nie je táto časť pre hodnotenie relevantná.

3. Hodnotenie nákladovej efektívnosti

Vzhľadom k typu žiadosti nie je táto časť pre hodnotenie relevantná.

4. Hodnotenie dopadu na rozpočet

Vzhľadom k typu žiadosti nie je táto časť pre hodnotenie relevantná.

5. Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty

Vzhľadom k typu žiadosti nie je táto časť pre hodnotenie relevantná.

Zdroje

[1] MZ SR, Žiadosť o zaradenie lieku Spinraza 28 mg injekčný roztok, sol inj 1x5 ml/28 mg (liek.inj.skl.) do ZKL a jej prílohy (ID návrhu: 39590). Dostupné z: <https://kategorizacia.mzsr.sk/Lieky/Common/Details/39590>

[2] MZ SR, Žiadosť o zaradenie lieku Spinraza 50 mg injekčný roztok, sol inj 1x5 ml/50 mg (liek.inj.skl.) do ZKL a jej prílohy (ID návrhu: 39591). Dostupné z: <https://kategorizacia.mzsr.sk/Lieky/Common/Details/39591>

[3] SPC lieku Spinraza 12 mg injekčný roztok, Spinraza 28 mg injekčný roztok, Spinraza 50 mg injekčný roztok. Dostupné z: <https://www.sukl.sk/spinraza-12-mg-injekcny-roztok-4481c>
https://www.ema.europa.eu/sk/documents/product-information/spinraza-epar-product-information_sk.pdf

[4] MZ SR, Zoznam kategorizovaných liekov 01.09.2026 – 30.09.2026. Dostupné z: <https://www.health.gov.sk/?zoznam-kategorizovanych-liekov>