



MINISTERSTVO ZDRAVOTNICTVÍ  
ČESKÉ REPUBLIKY

V Praze dne 20. února 2019  
Č. j.: MZDR 2911/2019-4/OLZP  
Sp. zn. OLZP: S1/2019



MZDRX015ACWE

## OPATŘENÍ OBECNÉ POVAHY

Ministerstvo zdravotnictví České republiky (dále jen „Ministerstvo“) jako příslušný správní orgán podle ustanovení § 11 písm. q) zákona č. 378/2007 Sb., o léčivech a o změnách některých souvisejících zákonů (zákon o léčivech), ve znění pozdějších předpisů (dále jen „zákon o léčivech“), a v souladu s ustanoveními § 171 a násl. zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „správní řád“)

**zařazuje** podle ustanovení § 77c odst. 2 zákona o léčivech následující léčivý přípravek na seznam léčivých přípravků, jehož distribuci do zahraničí mají distributoři povinnost hlásit Státnímu ústavu pro kontrolu léčiv podle ustanovení § 77 odst. 1 písm. q) zákona o léčivech (dále jen „Seznam“):

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Registrační číslo	Držitel rozhodnutí o registraci
0015369	PULMOZYME 1MG/ML INH SOL 6X2,5ML	52/ 270/95-C	ROCHE s.r.o., Praha, Česká republika

(dále jen „léčivý přípravek PULMOZYME“),

### Odůvodnění:

I.

Dne 11. 1. 2019 obdrželo Ministerstvo podání společnosti ROCHE s.r.o., se sídlem Sokolovská 685/136f, 186 00 Praha 8, IČO: 49617052 (dále jen „společnost ROCHE“), která je držitelem rozhodnutí o registraci léčivého přípravku PULMOZYME. Společnost ROCHE poukázala na to, že dne 20. 12. 2018 jí byla doručena výzva Státního ústavu pro kontrolu léčiv (dále jen „Ústav“) k předložení dokladů ve věci šetření dodávek léčivého přípravku PULMOZYME. Z výzvy vyplynulo, že Ústav provedl šetření u distributorů, jejichž prostřednictvím společnost ROCHE dodává léčivý přípravek PULMOZYME na český trh a zjistil, že distributoři evidují nekryté objednávky tohoto přípravku z lékáren v objemu cca

600 balení. Z odpovědi společnosti ROCHE na výzvu Ústavu ze dne 3. 1. 2019 vyplývá, že dodávky léčivého přípravku PULMOZYME na český trh by měly být dostatečné k pokrytí potřeb pacientů. Pokud si lékárny přesto stěžují na nedostupnost léčivého přípravku PULMOZYME, nezbývá než dovozovat, že část dodávek přípravku určených pro české pacienty je předmětem vývozu či distribuce do zahraničí, na což společnost ROCHE poukázala.

V této souvislosti společnost ROCHE požádala Ústav o zvážení předání podnětu na Ministerstvo, aby pro účely zajištění dostupnosti léčivého přípravku PULMOZYME vydalo opatření obecné povahy dle § 77 odst. 2 zákona o léčivech, kterým zařadí léčivý přípravek PULMOZYME na Seznam. Podnět k Ústavu byl Ministerstvu zaslán na vědomí.

Společnost ROCHE v podnětu uvádí, že „[p]řípravek PULMOZYME, obsahující léčivou látkou *dornasum alfa* (*dornáza alfa*), je indikován k léčbě cystické fibrózy ke zlepšení plicních funkcí a oddálení nevratné destrukce plicní tkáně. Cystická fibróza (dále též jen „CF“) je závažné dědičné (autosomálně recesivní) onemocnění vyskytující se v populaci ve stabilní prevalenci 1:8630 živě narozených dětí. Data jsou přesná vzhledem k povinnému plošnému screeningu CF. Onemocnění postihuje nejzávažněji dýchací a trávicí ústrojí, které poškozují zejména tvorbou velmi vazkého hlenu. Toto je zdrojem velmi závažných komplikací jako adnátní infekce, kardiopulmonální selhání i s možností úmrtí. Právě mukolytická léčba, společně s fyzikální a antibiotickou terapií je základem terapeutického schématu CF. Léčba dornázou alfa je indikována po selhání mukolytik. Dle indikačního omezení je *dornasum alfa* hrazena na základě preskripce lékaře pracoviště, které zajišťuje péči o pacienty s CF, při zajištění dobré spolupráce pacienta: a) při zhoršování funkce plic a/nebo b) při objevení se hnisavého sekretu v dýchacích cestách (vykašlaného sputa nebo odsátého sekretu). Léčba se zahajuje ihned, jakmile se objeví některý ze dvou výše uvedených příznaků. Po šestiměsíční inhalaci se zhodnotí účinek. Prokáže-li se příznivý efekt, léčba pokračuje. Přípravek PULMOZYME je jediným dostupným přípravkem s účinnou látkou *dornasum alfa* v České republice.“

Ministerstvo na základě podání společnosti ROCHE, vyzvalo Ústav ke sdělení údajů týkající se vývozu či distribuce léčivého přípravku PULMOZYME do zahraničí, které má Ústav k dispozici.

Z údajů poskytnutých Ústavem vyplývá, že k vývozu či distribuci léčivého přípravku PULMOZYME do zahraničí dochází, což významným způsobem negativně ovlivnilo dostupnost tohoto léčivého přípravku pro české pacienty.

Ministerstvo posoudilo informace předané Ústavem a společností ROCHE a uvádí následující:

Cystická fibróza (CF) je vrozené onemocnění vyvolané mutacemi genu pro transmembránový regulátor vodivosti (CFTR) s plicními a mimoplicními projevy. Farmakoterapie plicního postižení u CF je cílena především na mukostázu, bakteriální infekci a neutrofilní zánět. Léčba mimoplicních projevů CF se týká zejména pankreatické insuficience, deficitu vitaminů rozpustných v tucích, střevní obstrukce, diabetu, hepatopatie a osteoporózy. Ve fázi výzkumu je v současnosti genová léčba CF a terapie cílená na jednotlivé mutace genu CFTR.

K farmakologickému ovlivnění porušené mukociliární clearance u CF je k dispozici řada všeobecně užívaných léčivých přípravků obsahující léčivé látky *ambroxol*, *acetylcystein*, *mesna*, tak i léčivé přípravky pro CF specifické, a to milimolární roztok *amiloridu*, hypertonický roztok *NaCl* a *dornáza alfa*, které se uplatňují při inhalační léčbě.

Důležitým postupem v léčbě bronchopulmonálního onemocnění je inhalační léčba využívaná k podávání aerosolových nebo práškových forem léčebných přípravků. Kromě běžných dávkovaných aerosolů (MDI) a práškových inhalátorů (DPI) se používají k podávání roztoků léčiv výkonné kompresorové inhalátory s tryskovými nebulizátory.

Léčivý přípravek PULMOZYME patří do farmakoterapeutické skupiny – Expektorancia, kromě kombinací s antitusiky; mukolytikum. Léčivá látka *dornasum alfa* je fosforylovaná a glykosylovaná lidská deoxyribonukleáza I (rhDNáza), získaná z ovariálních buněk čínského křečka (CHO) rekombinantní DNA technologií. Léčivý přípravek PULMOZYME je indikován k léčbě cystické fibrózy ke zlepšení plicních funkcí a oddálení nevratné destrukce plicní tkáně u pacientů, kteří jsou starší 5let a jejich plicní kapacita je vyšší než 40 % předpokládané plicní kapacity. Doporučovaná dávka je 2 500 jednotek (= 2,5 mg) jednou denně, čemuž odpovídá inhalace neředěného obsahu jedné ampule - 2,5 ml roztoku. Optimálních terapeutických výsledků bývá u většiny pacientů dosahováno při každodenním kontinuálním podávání. V ATC skupině R05CB – mukolytika není v České republice dostupný žádný další léčivý přípravek s indikací cystická fibróza, který má obdobný způsob aplikace (roztok určený k inhalaci, který se aplikuje tryskovým nebulizérem poháněným stlačeným vzduchem).

Léčivý přípravek PULMOZYME je z hlediska použití v terapeutické praxi **významný** pro poskytování zdravotních služeb v České republice, neboť se jedná o **život zachraňující** léčivý přípravek a současně se jedná o léčivý přípravek **nenahraditelný** a případný vývoz či distribuce do zahraničí by tak mohly způsobit nedostupnost tohoto léčivého přípravku pro léčbu pacientů v České republice.

Dle ustanovení § 11 písm. q) zákona o léčivech platí, že „*Ministerstvo zdravotnictví v oblasti humánních léčiv vydává opatření obecné povahy podle § 77c, kterým se stanoví léčivý přípravek, při jehož nedostatku bude ohrožena dostupnost a účinnost léčby pacientů v České republice s přímým dopadem na ochranu zdraví obyvatelstva a s významným ovlivněním poskytování zdravotních služeb, a vede seznam takových léčivých přípravků.*“

Dle ustanovení § 77c odst. 1 věty třetí zákona o léčivech platí, že „*Pokud Ústav na základě vyhodnocení uvedených skutečností dojde k závěru, že aktuální zásoba předmětného léčivého přípravku nebo léčivých přípravků již dostatečně nepokrývá aktuální potřeby pacientů v České republice a nedostatkem tohoto léčivého přípravku nebo léčivých přípravků, kterým se rozumí nedostatečné pokrytí aktuálních potřeb pacientů v České republice daným léčivým přípravkem nebo léčivými přípravky, bude ohrožena dostupnost a účinnost léčby pacientů v České republice s přímým dopadem na ochranu zdraví obyvatelstva a významným ovlivněním poskytování zdravotních služeb, sdělí Ministerstvu zdravotnictví tuto informaci, a to včetně podkladů a informací, na jejichž základě Ústav k tomuto závěru došel.*“

Ministerstvo v souladu s ustanovením § 77c odst. 2 zákona o léčivech vyhodnotilo informace předané Ústavem a rozhodlo podle ustanovení § 11 písm. q) zákona o léčivech tak,

že při nedostatku léčivého přípravku PULMOZYME bude ohrožena dostupnost a účinnost léčby pacientů v České republice s ohledem na jeho významnost při poskytování zdravotní péče.

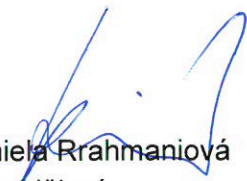
Na základě výše uvedeného Ministerstvo po projednání s Ústavem vydává toto opatření obecné povahy o zařazení uvedeného léčivého přípravku PULMOZYME na Seznam podle ustanovení § 77c odst. 2 zákona o léčivech. S ohledem na skutečnost, že opatření obecné povahy je vydáváno za účelem ochrany veřejného zdraví, které je ohroženo hrozící nedostatečnou zásobou léčivého přípravku PULMOZYME, což vyplývá z výše uvedeného, byla v souladu s ustanovením § 173 odst. 1 věty čtvrté před středníkem správního řádu stanovena účinnost opatření obecné povahy na den následující po vyvěšení tohoto opatření.

Na základě výše uvedeného rozhodlo Ministerstvo o zařazení uvedených léčivých přípravků na Seznam podle ustanovení § 11 písm. q) a ustanovení § 77c odst. 2 zákona o léčivech.

### **Poučení:**

Proti opatření obecné povahy nelze v souladu s ustanovením § 173 odst. 2 správního řádu podat opravný prostředek. Opatření obecné povahy nabývá účinnosti dnem následujícím po dni jeho vyvěšení. Do opatření obecné povahy a jeho odůvodnění může podle ustanovení § 173 odst. 1 in fine správního řádu nahlédnout každý u správního orgánu, který opatření vydal.

OTISK ÚŘEDNÍHO RAZÍTKA

  
Mgr. Daniela Rrahmaniová  
vedoucí oddělení  
léčiv a zdravotnických prostředků

Vyvěšeno dne: 20. února 2019

## **Doložka autorizované konverze do dokumentu obsaženého v datové zprávě**

Sdělují, že tento dokument, který vznikl převedením vstupu v listinné podobě do podoby elektronické pod pořadovým číslem 116150109-247292-190220152516, skládající se z 4 listů, se doslovně shoduje s obsahem vstupu.

Autorizovanou konverzí dokumentu se nepotvrzuje správnost a pravdivost údajů obsažených v dokumentu a jejich soulad s právními předpisy.

### **Zajišťovací prvek:**

bez zajišťovacího prvku

### **Subjekt, který autorizovanou konverzi dokumentu provedl:**

Ministerstvo zdravotnictví

### **Datum vyhotovení doložky:**

20.2.2019

### **Jméno, příjmení a podpis osoby, která autorizovanou konverzi dokumentu provedla:**

Olga Čmejlová



116150109-247292-190220152516

---

### *Poznámka:*

*Kontrolu této doložky lze provést v centrální evidenci doložek přístupné způsobem umožňujícím dálkový přístup na adrese <https://www.czechpoint.cz/overovacidolozky>.*