

Naděje pro děti se vzácnými nádory mozku

Klinické studie a inovativní léčba pro děti se vzácnými nádory: bariéry a řešení na příkladu diagnózy DIPG/DMG

Datum a místo	10. září 2026, 9.00–12.20, Poslanecká sněmovna PČR, Sněmovní 7/10, Praha 1, místnost E 48 – Konírna
Pořadatelé	poslanec Václav Pláteník a Nadační fond Nina
Záštit	ministr zdravotnictví Adam Vojtěch a Výbor pro zdravotnictví Poslanecké sněmovny
Zastoupené instituce	Ministerstvo zdravotnictví ČR, Státní ústav pro kontrolu léčiv, Všeobecná zdravotní pojišťovna ČR, FN Motol a Homolka (Klinika dětské hematologie a onkologie), FN Brno (Klinika dětské onkologie), Česká asociace pro vzácná onemocnění z. s., TAY SACHS, zapsaný spolek, Agentura pro zdravotnický výzkum ČR, Senát PČR, Nadační fond Nina

SHRNUTÍ PRO ROZHODOVÁNÍ

Kulatý stůl propojil rodiny pacientů, obě dětská komplexní onkologická centra, Ministerstvo zdravotnictví, Státní ústav pro kontrolu léčiv, plátce zdravotní péče, patientské organizace a zástupce výzkumu. Cílem bylo na příkladu diagnóz DIPG a DMG pojmenovat systémové bariéry v přístupu k inovativní léčbě a ke klinickým studiím a formulovat kroky proveditelné v horizontu dvanácti až dvaceti čtyř měsíců.

Rozhodující bariérou není chybějící právní nástroj, ale čas a administrativní kapacita. Nástroje existují: specifický léčebný program, formulář S2, úhrada podle § 16, evropské referenční sítě i soucitné podání. Jejich rychlost však dnes závisí na mimořádném nasazení jednotlivých lékařů a rodin, nikoli na předvídatelném postupu. U onemocnění, kde přibližně 90 % dětí umírá do roka od stanovení diagnózy, je tento rozdíl určující.

Okamžitě využitelný výstup. Ředitel SÚKL nabídl konzultace a eskalaci průtahů u specifických léčebných programů, potvrdil, že program lze vést i pro jediného způsobilého pacienta a vyřídít jej v řádu dnů až týdnů, a nabídl součinnost při prověření dostupnosti přípravku z francouzského programu rozšířeného přístupu, ke kterému má přístup Nadační fond Nina. Nejde o vydané povolení ani o příslib úhrady, ale o konkrétní případ připravený k navazujícímu odbornému jednání.

Systémové závěry se soustředí do osmi oblastí uvedených v části 2: koordinační kapacita v centrech a skutečné využití prostředků na pracoviště ERN, zrychlení celé cesty žádosti o přeshraniční péči, oddělení soucitného podání od specifického léčebného programu, systémová cesta pro opakované žádosti podle § 16, váha závěrů mezinárodních konzilií ERN, provázání dat a registrů, informace o probíhajících studiích a evropská rovina dostupnosti.

Časové okno. Revize evropské lékové legislativy má být zveřejněna na podzim tohoto roku, poté následují dva roky na implementaci do národního práva. Právě v tomto období lze soucitné podání v českém právu vyčlenit samostatně a vyjasnit postavení předepisujícího/indikujícího lékaře.

Povaha výstupu. Jednání přineslo soubor konkrétních podnětů a několik využitelných nabídek součinnosti. Nebylo přijato formální usnesení ani schválen akční plán s garanty a rozpočtem. Zápis proto u každého kroku uvádí, zda šlo o nabídku vyslovenou na místě, nebo o návrh vyžadující další dopracování.

1. KLÍČOVÁ ZJIŠTĚNÍ

Rozsah a kontext. V České republice je ročně diagnostikováno 350 až 400 dětí a dospívajících se zhoubným nádorem. Osm z deseti pacientů se vrací do běžného života, část z nich s trvalými následky. Podíl nádorů na dětské úmrtnosti přesto vzrostl z přibližně 10 % v 60. a 70. letech na dnešních více než 20 %, protože úmrtnost na jiná onemocnění klesá rychleji. U DIPG a DMG kurativní léčba neexistuje. Péče je centralizována do dvou komplexních center, obě jsou zapojena do evropských referenčních sítí i do mezinárodní sítě ITCC. (FN Motol a Homolka, FN Brno)

Klinické studie a limity evidence. Pro většinu podtypů dětských nádorů vhodná studie chybí; otevření akademické studie znamená desítky hodin práce zkušeného pracovníka i při perspektivě jediného zařazeného pacienta a její administrativní zajištění je závislé na nadační podpoře. Klasické studie fáze III jsou u ultra-vzácných diagnóz obtížně realizovatelné: mezinárodní studie osteosarkomu spojila přes 326 center v 17 zemích, nábor od roku 2005 trval šest let a výsledek nepřinesl změnu léčebných postupů. (FN Brno)

§ 16 nahrazuje systémovou cestu. Obě centra podávají dohromady přibližně 2 500 žádostí podle § 16 ročně na zhruba 400 pacientů, a to i u léků používaných čtyřicet let, kterým pouze chybí česká registrace, úhrada nebo odpovídající indikace (například aktinomycin D). Mechanismus určený pro výjimečné individuální situace tak pokrývá i opakovanou standardní léčbu. Plátce a Ministerstvo zdravotnictví zároveň upozornily, že vzácnost diagnózy sama o sobě podmínku výjimečnosti podle dosavadní judikatury nenaplní. (FN Motol a Homolka, MZD)

Přeshraniční péče a formulář S2. V diskutovaném případě trvalo vyřízení celkem tři týdny. Na doplňující dotaz bylo upřesněno, že z toho přibližně týden zabrala příprava klinických podkladů, týden domluva termínu podání a individuální projednání a týden samotné vyřízení; nešlo tedy o tři týdny posuzování na straně zdravotní pojišťovny. Ve snadno doložitelných případech může souhlas vzniknout v řádu hodin až dnů, správní lhůta v prvním stupni je třicetidenní a průtah může vzniknout i na straně přijímajícího státu. Formulář S2 je jednotným evropským vzorem a nelze jej národně měnit; lze k němu však připojit národní přílohu, jejíž formát jednotný být nemusí. Závěrem pro další práci je zkracovat a měřit celou cestu žádosti, nikoli pouze její poslední část. (NF Nina, MZD)

Koordinační a administrativní kapacita. Klinici odmítli představu univerzálního kontaktního místa, které by nahrazovalo odborné centrum při vyhledání a posouzení léčebné možnosti; odpovědnost má zůstat u lékařů, kteří obor sledují. Deficit je v administrativní kapacitě, protože potřebné kroky lékaři vyřizují mimo běžnou pracovní dobu. Podle úhradového nastavení pro letošní rok dostává poskytovatel přibližně 10 mil. Kč ročně na každé pracoviště ERN, mimo jiné na administrativní zajištění. Zaznělo, že se tyto prostředky nemusejí dostat ke konkrétním klinickým týmům a že o nich vedoucí pracovníci pracovišť nemají dostatečnou informaci. (FN Motol a Homolka, MZD)

Soucité podání, neregistrované léky a úhrada. Česká republika soucité podání formálně nevyčleňuje, je skryto uvnitř specifického léčebného programu. Jeho oddělení by podle SÚKL umožnilo jednodušší pravidla, rychlejší postup a zejména přenesení odpovědnosti z předepisujícího lékaře na stát při transparentně vysvětlené míře nejistoty pacientovi. Specifický léčebný program sám úhradu nezajišťuje; pro úhradu z veřejného zdravotního pojištění může být nadále nutná samostatná žádost podle § 16 a bezplatné dodání léku neřeší doprovodné náklady. Praktickým omezením je, že žádost podává držitel či dodavatel, takže chybí jasná cesta pro nadaci nebo jiný subjekt hradící výrobní náklady. Jako inspirace byly zmíněny modely ve Francii, Španělsku a Německu. (SÚKL, VZP)

Nerovný přístup a hodnota informace. Vstup pěti pacientů, tří českých a dvou slovenských, do klinické studie ve švýcarském Bernu vznikl z osobního kontaktu a mimořádného nasazení dvou rodičů, kteří sami zajišťovali překlady, dokumentaci i vyhledávání dalších rodin a vytvořili anonymizovaný vzor podkladů pro ostatní. Výsledek tedy nezávisel na fungujícím postupu. Současně zaznělo, že validní informace mají chránit rodiny i před nabídkami bez medicínského základu, které vyčerpají jejich prostředky a oddálí smysluplnou péči. (spolek TAY SACHS, ČAVO, SÚKL)

2. ZÁVĚRY A DOPORUČENÍ PODLE OBLASTÍ

Oblast	Doporučený krok	Stav na konci jednání
Alokace prostředků na koordinátory v centrech ERN	Zajistit, aby prostředky z úhradové vyhlášky (10 mil. Kč na pracoviště ERN) dopadaly na klinická pracoviště a kryly úvazky koordinátorů přeshraniční péče a akademických studií.	Podnět zaznamenaný; ověření dosud neproběhlo
Legislativní vyčlenění soucitého podání	Vyčlenit v zákoně o léčivech soucité podání od specifického léčebného programu, příp. ukotvit ochranu lékaře postupujícího podle schváleného programu a stanovit transparentní pravidla pro bezplatné či nákladové dodání přípravku.	Námět SÚKL k legislativnímu dopracování
Zrychlený režim pro formulář S2	Vytvořit národní přílohu k formuláři S2 se zrychleným režimem pro klinicky naléhavé dětské diagnózy a posílit poradenskou roli Kanceláře zdravotního pojištění.	Návrh převzatý pořadatelem; bez procesu a garanta
Právní váha závěrů konzílií ERN	Zakotvit závěr mezinárodního multidisciplinárního konzilia v rámci sítě ERN jako uznatelný odborný podklad pro rozhodování pojišťovny o úhradě.	Návrh; připravován pilot vykazování výkonu
Systémová cesta místo opakovaných žádostí podle § 16	Nahradit opakované žádosti (2 500 ročně na 400 pacientů) předvídatelnou úhradovou cestou navazující na model společných stanovisek plátce a odborných společností z roku 2019.	Shoda na potřebě; bez schváleného mechanismu
Individuální přístup k léčivu v současném rámci	Provéřit se SÚKL dostupnost přípravku z francouzského programu rozšířeného přístupu cestou specifického léčebného programu a dořešit předkladatele, dodávku a plátce.	Výslovná nabídka součinnosti SÚKL
Jednotný portál a propojení registrů	Spustit portál s přehledem akademických i komerčních studií řazených podle ORPHA kódů a příp. propojit jej s Národním registrem vzácných onemocnění (dosud nebyl zřízen).	Probíhá; doplnění ORPHA kódů jako námět
Evropská iniciativa pro rovný přístup	Prosazovat na úrovni EU povinnost nabízet registrované přípravky a klinická hodnocení ve všech členských státech.	Politický návrh

3. CO Z JEDNÁNÍ VYPLÝVÁ PRO JEDNOTLIVÉ AKTÉRY

Přehled shrnuje témata, která se v jednání opakovaně vázala k působnosti dané instituce. Nejde o převzaté závazky; jejich potvrzení je předmětem navazujícího jednání.

Ministerstvo zdravotnictví	Implementace Národní strategie pro vzácná onemocnění a její provázání s Národní strategií klinických hodnocení humánních léčivých přípravků; ověření alokace prostředků na pracoviště ERN; příprava národní přílohy k formuláři S2; národní úprava soucitého podání v návaznosti na revizi evropské legislativy; dokončení jednotného portálu klinických hodnocení.
Státní ústav pro kontrolu léčiv	Konzultace a eskalace průtahů u specifických léčebných programů; prověření přípravku z francouzského programu rozšířeného přístupu; návrh legislativního oddělení soucitého podání; pravidla pro poskytování validních informací o neregistrovaných léčivech patientským organizacím.
Zdravotní pojišťovny a Kancelář zdravotního pojištění	Zrychlené vyřízení klinicky naléhavých žádostí o přeshraniční péči; posílení poradenské role KZP; navázání na model společných stanovisek u opakovaně žádaných přípravků; posouzení využitelnosti akademických a evropských dat pro vstup léčby do úhrad.

Dětská onkologická centra (FN Motol a Homolka, FN Brno)	Popis cesty urgentní žádosti od rozhodnutí lékaře po zahájení péče; vyčíslení potřebné koordinační kapacity; podklady k úhradám dětských solidních nádorů v systému DRG; podpora vzniku národního programu dětské onkologie.
Agentura pro zdravotnický výzkum ČR a akademická sféra	Otevření tématu podpory akademických studií u vzácných diagnóz na jednání předsednictva; propojení výzkumných kapacit s potřebami obou center a s mezinárodními konsorciemi.

Zápis byl pořízen ze zvukového záznamu jednání. Věcné připomínky a opravy prosím zašlete na platenikv@psp.cz.