

**M i n i s t e r s t v o   z d r a v o t n í c t v a**

Č í s l o :

M i n i s t e r s t v o   z d r a v o t n í c t v a   S l o v e n s k é j n r e p u b l i k e  
p o d š t a t o u   z á k o n o u   č . i s . 3 6 3 / 2 0 1 0   Z . z s a h u   a   p o d m i e n k a  
z d r a v o t n í c k y c h   p o m ô c o k   a   d i e t e t i c k ý c h   p o t r a v i n  
a   o z m e n e   a   d o p l n e n í   n i e k t o r ý c h   z á k o n o v   v   z o b o r e  
p r í s l u š n ý   n a š e m u   p o d l h a   k a r a k t e r i s t i k   r e f e r e n č n é  
k o n a n í   n e   c h a r a k t e r i s t i k   s k u p i n y   M 0 5   B u r o s   ' p a r e n t .  
! ! ( "   % ) & ' ! ! ( "   % ) d ě l e j l e n e  
„ r e f e r e n č n í   o b m e d z e n í   t o   ú č a s t n í k m i   k o

**V š e o b e c n á   z d r a v o t n á   P a n ō ů k ů a , c e a t a m e s , t s k r á a t i  
č a P ě t r ž a l k a ,**

**D Ő V E R A   z d r a v o t n á   p o i s t ů n ě a , % # . "   # #**

**U n i o n   z d r a v o t n á , p o d k a s t ě ů ů ě , o v a . 1 0 ,   8 1 4   5 3   B r a t i s l a v a**  
& ' # &   ( ) % \* % + # # \$ \$ , \$ - . ( (   # (

\$ \*   +

I n d i k a č n é   o b m e d z e n í   r e f e r e n č n í c h   s k u p i n  
& ' ! ! ( "   ) %   & ' ! ! ( "   m e n í m ) %  
+

H r a d e n á   l i e č b a   s k ů ů ě h i p o f o s f a t e m i c k e j   r a c h i t í d y   p r i s p l n e

,   g e n e t i c k y   p o t v r d ě n ě m u t á c i o u   v  
, p r i   p e r z i s t e n c i i   n í z k e j   h y p o f o s f a t é m i e   n a  
t o l e r o v a n ý m i   d á v k a m i   v o v r e m ě n ě   v r i o t z a t n í k n u  
, p r i   p r o g r e s i i   k o s t n ý c h   d e f o r m á c i í   o v a n ě   p r o c ě h e ě á p  
š t a n d a r d n e j   v l i t e a č n í y n ( D ) o s f á t y   a

Ď a l š i a   l i e č b a   n i e   j e   h r a d e n o u   a l s i l e d ě o v n ý c h   k j r ě  
s é r o v á   k o n c e n t r á c i a   f o s f o r u   j e   n i ž š ě a   a k o  
p o š i e s t o i c h h l m e s ě i b a y c

alebo pomer maximálnej reabsorpcie fosfátu nižší než 0,8 mmol/l resp. sa zvýšil o menej ako 30% resp. absolútne znížená hodnota nasadenia liečby

Hradená liečba podlieha predchádzajúcemu súhlasu

O d ô v o d n e n i e

Skutkové okolnosti

Ministerstvo zdravotníctva z vlastného podnetu charakteristických indikačných obmedzení a upín M05BX05 Buros) ambulant ( " )% & ' ! ! ( " )%, prísúhlasu platného ( \$ referencie nasledovné

/ %0 1 % + # # 1+ +)  
/ %0 1 % + # # 1+ \$ +)  
/ %0 1 % + # # " , +)1+

Hradená liečba indikovaná pacientov' do dvoch šiestich hypofosfatemickéj rachitídy pri splnení všetkých, dokumentovanou vysokou sérovou koncentráciou, geneticky potvrdenou mutáciou v, pri perzistencii nízkej hypofosfatémie naprieť fosfátové hodnoty vitamínu D /, pri progresii kostných deformít napriek podávaniu (D)

Ďalšia liečba nie je hradená, ak koncentrácia fosforu je nižšia ako 0,8 mmol/l alebo pomer maximálnej reabsorpcie fosfátu glomerulovej resp. sa zvýšil o menej ako 30% po 6 mesiacoch RSS skóre (radiologické skóre rachitických - z absolútnej hodnoty skóre je menšia ako 0,5 od

Hradená liečba podlieha predchádzajúcemu súhlasu

Ministerstvo zdravotníctva z vlastného podnetu z akýchkoľvek : spoločnosti a hlavného odborníka MZ SR pre pediatrickú nefrológiu prof. MUDr. a Ľudmilye indikačného obmedzenia, ktoré sa týka vysokej sérovej prírodných skupiny M05BX) % & ' ! ! ( " )% & ' ! ! ( "

5 " 0 &23 4! 5 # 55'3 79&5& 7'8 0 &23  
Eudmi ly Podrackej, PhD., doručení dňa 21.3.2

„Dovoľte nám obrátiť sa na Vás v mene Slova  
našich kolegýň a kolegov v praxi so žiadosťou  
Crysvita v kategorizovanej indikácii.

V súčasnosti je na tento liek viazané ind  
hypofosfatémie (XLH):

Hradená liečba sa môže indikovať u detských  
ypofosfatemickej rachitidy pri splnení v  
S dokumentovanou vysokou sérovou koncentrá  
S geneticky potvrdenou mutáciou v PHEX géne  
Pri perzistencii nízkej hypofosfatémie n  
tolerovanými dávkami fosfátového roztoku  
Pri progresii kostných deformít napriek p  
štandardnej liečby (fosfáty a vitamín D)

S geneticky potvrdenou mutáciou  
Pri perzistencii nízkej hypofosfatémie n  
tolerovanými dávkami fosfátového roztoku  
Pri progresii kostných deformít napriek p  
štandardnej liečby (fosfáty a vitamín D)

V novo navrhovanom znení je vynechaná požiad  
sérovej hladiny kalcia srne z nasledovných

1. Súhrnu charakteristických vlastností  
rýchlych usmernení v liečbe hypofosfatémie
3. Inkluzívnych kritérií v registračných

Súhrn charakteristických vlastností lieku  
Terapeutické indikácie: Crysvit (Crysvit, XLH) u detí a do  
radiografickým dôkazom kostného ochorenia a

Odborné usmernenia na diagnostiku a manaž  
! " # \$ %\$ \$" " & " ' & & ' "  
(% % &% " " ) % /-- \* +, - . / -

Odporúčania vyškolení lekári a rodičia detí s geneticky potvrdenou  
XLH (Crysvit) u detí a do

U detí by sa mala zvažovať hypofosfátémia (XLH) a/alebo rádiologických príznakov rachitídy, fosfátov pod referenčným rozsahom vzhľadom na vitamín D (na základe sstrupeďné silné odporúčanie).

Odporúčame nasledujúce počiatkové diagnostické odporúčanie):

- Podrobné klinické vyšetrenie vrátane príznakov a dentálnych abnormálností a/alebo (%)
- Rádiologické vyšetrenie na diagnostiku a
- Biochemické vyšetrenia vrátane sérových fosfatázy, parathormónu, 25(OH)D
- V moči koncentrácie kreatinínu, vápnika, reabsorpcie fosforu T<sub>max</sub>/GFR a indexu vápnika
- Odporúčame potvrdiť klinickú diagnózu XLH a/alebo, ak je to možné (stupeň B, stredne)
- Ak genetická analýza nie je k dispozícii, fibroblastového rastového faktora 23 (FGF23) XLH podporuje diagnózu (súčasne)

Tieto odporúčania sú podporené nasledujúcimi

- 0 % 1 \$ "( 2 " \$ % '( 012
- 0 % 1 \$ "( % " \$ 0 \$ '( 0120
- 0 % 1 \$ "( 0 \$ '( 010
- 0 % ) \$ "3 ) 0 \$ (#) " & 0
- 0 % ) \$ "3 ) 4 ! & & 4 !
- " " " &" % & & 5 " 5
- 1 " ) ! & & & 6 ' 7 %
- 0 % # \$ 8( & & # 8 11 \$ "
- 0 % 2 " \$ " % \$ 1 \$ "( 02 1
- &" ( ' % 9 " \$ 7 " \$ 4 ! & &
- 0 % 1 \$ "( # \$ 1 ' (
- 0 % 1 \$ "( 2 " \$ & ' ( " 0 %

2 " 0(52

" 9) " # & & & \$ " & " ' & & (% % &% " 4 ' 5 " 0 \$ & \*

Biochemické vyšetrenie FGF23 uvádza ako voliteľnosť.

TABLE 2 | Recommended diagnostic and monitoring tests for XLH in Belgium.

<b>Clinical</b>	<p>History (current illness, review of systems, medications, alcohol use, sleep disturbances, mobility)<sup>††</sup></p> <p>Clinical examination including:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• height and growth velocity, signs of rickets (limb bowing, chest, ...), internalleolar and intercondylar distance<sup>††</sup></li> <li>• dysmorphic features, head circumference and shape, craniosynostosis, signs of intracranial hypertension (fundoscopy if possibly symptomatic)<sup>††</sup></li> <li>• weight and blood pressure (particularly in patients receiving phosphate supplements)<sup>††</sup></li> <li>• dental examination, mobility, motor development and muscle function (EMWT)<sup>††</sup></li> <li>• bone tenderness, joint range of motion, spine examination, entheses<sup>††</sup></li> <li>• hearing assessment<sup>††</sup></li> <li>• skin (naevi, café-au-lait spots)</li> </ul>
<b>Biochemical</b>	<p>Recommended tests:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• plasma calcium (ionized or albumin-adjusted)<sup>††</sup>, phosphate<sup>††</sup>, (bone-specific) ALP<sup>††</sup>, creatinine<sup>††</sup></li> <li>• PTH<sup>††</sup>, 25(OH)vitamin D<sup>††</sup>, 1,25(OH)<sub>2</sub>D<sup>††</sup></li> <li>• 24h calciuria (or spot urine calcium/creatinine ratio)<sup>††</sup></li> </ul> <p>For differential-diagnostic purposes:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• TmP/GFR (preferably from early morning fasted urinary and plasma creatinine and phosphate)</li> <li>• Bicarbonate, uric acid, glucosuria, amino-aciduria, low molecular mass proteinuria</li> </ul> <p>Optional (interpret with caution):</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• FGF23, intact or c-terminal</li> </ul>
<b>Radiological</b>	<p>Recommended tests:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Lower extremity and wrist X-ray (including bone age): baseline + repeat when clinically indicated, considering radiation exposure (consider skeletal survey in adults, low-dose biplanar X-ray imaging)</li> <li>• Renal ultrasound (baseline + repeat every 1-2 years during follow-up)<sup>††</sup></li> </ul> <p>Not recommended in XLH:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Bone densitometry (DXA)</li> </ul>
<b>Genetic</b>	<p>Recommended for diagnosis:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Genetic counselling</li> <li>• PHEX single gene testing</li> <li>• If negative or other genetic cause more likely: multi-gene panel</li> </ul>

<sup>†</sup>Recommended for monitoring in patients not receiving medical therapy, every 3-6 months (children) to every 6-12 months (adults).

<sup>††</sup>Recommended for monitoring and dose adjustments in patients receiving medical therapy, every 1-3 months (children) to every 3-6 months (adults) (more frequent follow-up may be recommended during the start-up phase of medical therapy)

<sup>†††</sup>Recommended for safety monitoring every 3-6 months in patients receiving bisphosphonate therapy.

*Inklúzie kritériá v registračnej klinickej štúdii*  
 0; " 4 & & \$ " " \$ " " % (  
 (% % & % " \$ & < < \$ "% < % & " \$  
 \* + < + \* = + / . / :

*Inklúzie kritériá v registračnej štúdií fázy I*  
*Kľúčové inklúzie kritériá zahŕňali:*

- sérový fosfor nalačno < 0,97 mmol/l (< 3,0 mg/dl)
- — ov v čase informovaného súhlasu
- potvrdená mutácia PHEX alebo variant neznaný v literatúre (& viazanou dedičnosťou)
- celkové skóre závažnosti Thacher Ricket ≥ 10
- a užívanie konvenčnej polisečbby napaosčlaesd už bú cálcium u detí mladších alebo starších ako 3 roky,

*Zmena navrhovaného IO nepovedie k navýšeniu dávky bisfosfonátu. Finálna stanovenie diagnózy je nutne mutácia génu PHEX. Diagnostika ochorenia sa zrýchli vďaka dostanú k liečbe skôr. Úpravy IO budú bežnými ireverzibilným poškodeniam kostrovosvalového systému.*

8 t n á p r á v n a ú p r a v a

Podľa § 6 ods. 1 písm. h) zákona minist  
z mene charakteristík refer \$ z ň n ý m e h k s a k t u p g i o r i z i

Podľa § 20 ods. 1 písm. h) zákona minist  
z meny alebo zrušenia určenia úhradovej skupi  
ministerstvo na základe žiadosti rič epnoid, l' az nš enle4  
zrušenia určenia úhradovej s!k u # i n \$ \* á k o e f i c i  
\$ v l a s t n é h o p o d n e t u .

Podľa § 20 ods. 3 písm. a) zákona minist  
skupiny sa prihliædæ k n á j v m ä s t i a v ý ň æ k h o d á n i a a p  
zdravotného poistenia .

Podľa § 20 ods. 3 písm. b) zákona minist  
skupiny sa prihliada najmä p n r a i h o l d i p a o d r n ú ç t á i m é n t a e r  
efektívne odspt'okaladaný vplyv na prostriedky vere

Podľa § 74 zákona konanie s" a z l a č í n a n a n á  
Konanie je začaté dňom, keď podanie účastní  
konanie p o d ň é t u m i n i s t e r s t v a , j e v k o o n u a r n o i b e i l z o a č v a  
účastníkov konaní čaa t p r v k ý o n á k b a . m i n i s t e r s t v o  
účastníkov konania .

Podľa § 76 ods. 1 zákona minist  
podnetu, upovedomí minist r s i t n o z a o č ú a č á s t k o k a n  
Zverejnenie z a o č z a n t á i m e k o n a m i a n a w e b o v o m s í d l e  
doručenie z o a z č n a t m é n k i o a n a o n i a v š e t k ý m ú č a s t n í k o m l

...  
P o s ú d e n i e ž i a d o s t i m i n i s t e r s t v o m

V rámci diskusie n a k o z m i s s a i d e n u d ň a K 9 t 5 g 2 0 2 3 a t  
" " 0 & 23 4! 5 # 5\*3 & 56 78 5 797.& " \$  
endokrinologickej spoločnosti a hlavného od  
hlavnej odborníčky pre prediã ut d r m i c l k y ú P h o e d f r r a o d k o e g j i  
žiadali zmenu znenia indikačného obmedzenia  
kritérium dokumentovej 2 ů y s p o r k e e j r e s f e r r æ v e ě j n é h l s a k d u i  
! ! ( " ) % & ' ! ! ( " ) % & '  
! ! ( " ) %

Členovia Kategorizačnej komisie mali za dokumentovej vysokéj úrovni nárast počtu liekových skupín navýšeni u počtu liekových skupín v nárastov.

Predmetom odporúčania bola zmena znenia skupín M05BX05 Burosumab parent. 10 mg/ml, M05BX05 Burosumab parent. 30 mg/ml i t.é. krovinu a dokumentovej vysokej sérovej hladiny FGF

; odborného odporúčania pre ministra vyplývalo väčšinou súhlasom o znížení počtu indikačného obmedzenia skupiny M05BX05 Burosumab & '!'!'(') % & '!'!'(') %

Odborné odporúčanie o znení podmienok z elektronického prístupom k informáciám o lieku v kategórii

a zasadnutí Kategorizačnej komisie dňa 12.6.2022 prezidenta Spoločnosti pre osteoporózu a met. endokrinologickej spoločnosti MZ a SR hlavná odborná hlavnej odborníčky pre pediatrickú nefrológiu obmedzenia, a to konkrétne vynechanie požiadavky sérovej hladiny FGF a nárast (M05BX05 Burosumab parent. 20 mg a M05BX05 opätovnej diskusie členovia Kategorizačnej komisie požiadavky na kritérium dokladu o referenčných skupín.

Členovia Kategorizačnej komisie mali za dokumentovej vysokéj úrovni nárast počtu liekových skupín navýšeni u počtu liekových skupín v nárastov.

Dňa / / bolo ministerstvu opätovne doručené Kategorizačnej komisie konanej dňa 12.6.2022 podnet návrhu na zmenu znenia podmienok znenia zákona č. 363/2017 Z.z. o potravinách na základe verejných referenčných skupín v základných podmienkach predpisov liekových skupín v re. % " \* ' > < 9\*-4 \*-4 & % " \* ' > 9\*-4 \*-4 & mg/ml podľa návrhu uvedenom v odbornom (odpor

Ministerstvo sa v plnom rozsahu oslobodilo od  
orgánom za to, že je opodstatnené zmeniť in  
výroku §\*ohto

Na základe hore uvedeného ministneer sv ov ý ro z h o d n u t í  
§\* !

Poučenie:

Proti tomuto rozhodnutiu možno podľa §  
Ministerstvo zdravotníctva Slovenskej republiky  
Rozhodnutie nie je preskúmateľné súdom, p  
"

Podľa § 82 ods. 4 a 5 zákona ten, kto po  
ministerstva kauciu v sume 3000 eur. Kauciu  
najneskôr v nasledujúci pracovný deň po posl  
konanie o námietkach zastaví. Ministerstvo l  
čiastočne vyhovel.

Michal Palkovič

Toto rozhodnutie sa považuje za doručenie  
nasledujúcim po dni jeho zverejnenia na web  
Kategorizácia (<http://kategorizacia.mzsrr.sk>)