



**ADRESÁT**  
CSL Behring GmbH  
Emil-von-Behring-Straße 76  
35041 Marburg  
Německo

**ADRESA PRO DORUČENÍ**  
Neox s.r.o.  
Pancířova 1196/2  
14300 Praha 4  
Česká republika

Spisová zn.  
sukls244338/2020

Číslo jednací  
sukl258357/2020

Vyřizuje/linka  
Mgr. Kristýna Del Maschio / 396

Datum  
26. 10. 2020

## ROZHODNUTÍ

Státní ústav pro kontrolu léčiv se sídlem v Praze 10, Šrobárova 48 (dále jen „Ústav“) jako orgán příslušný k rozhodnutí podle § 34a odst. 3 zákona č. 378/2007 Sb., o léčivech a o změnách některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „zákon o léčivech“), **rozhodl** v souladu s tímto ustanovením zákona o léčivech a v souladu s § 67 zákona č. 500/2004 Sb., správní řád, ve znění pozdějších předpisů (dále jen „správní řád“),

t a k t o :

**výjimka podle § 34a odst. 3 zákona o léčivech**, spočívající v tom, že na rozhodnutí o registraci léčivého přípravku **BERIATE**, síla: **2000IU**, lék. forma: **INJ/INF PSO LQF**, **reg. č. 75/206/15-C** (dále jen „předmětný léčivý přípravek“), jehož držitelem je společnost CSL Behring GmbH, se sídlem Emil-von-Behring-Straße 76, 35041 Marburg, Německo, IČ: HRB1056, zastoupená společností Neox s.r.o., se sídlem Pancířova 1196/2, 143 00 Praha 4, Česká republika, IČ: 629 17 927 (dále jen „účastník řízení“), se nevztahuje ustanovení § 34a odst. 2 zákona o léčivech,

**se uděluje.**

### Odůvodnění

Dne 26. 9. 2020 byla Ústavu doručena žádost účastníka řízení o udělení výjimky podle § 34a odst. 3 zákona o léčivech, spočívající v tom, že na rozhodnutí o registraci předmětného léčivého přípravku, vydané pod sp. zn. sukls135718/2014, se ustanovení § 34a odst. 2 nevztahuje. Doručením žádosti Ústavu bylo zahájeno správní řízení vedené pod sp. zn. sukls244338/2020.

Účastník řízení v žádosti uvádí jako důvod pro udělení výjimky ochranu veřejného zdraví. Dle účastníka řízení je předmětný léčivý přípravek v zemích Evropy dlouhodobě zavedený v klinické praxi, má ověřenou vysokou účinnost a dlouhodobý bezpečnostní profil a nízký potenciál indukovat autoimunitní tvorbu inhibitorů. Kromě hemofilie A lze předmětný léčivý přípravek indikovat též v případě získaného deficitu faktoru VIII. I přes pokroky v substituční léčbě hemofilie A faktorem VIII si původní plazmatické koncentráty faktoru VIII, mezi které patří také předmětný léčivý přípravek, ponechávají určité výhody, které mohou mít v individuálních případech klinický význam, jako je registrovaná indikace získaného deficitu faktoru VIII, kde novější rekombinantní koncentráty faktoru VIII nelze použít, nebo nižší potenciál plazmatických koncentrátů indukovat autoimunitně produkované inhibitory proti podané substituční léčbě v porovnání s rekombinantními přípravky. Předmětný léčivý přípravek je navíc jediným přípravkem na trhu v síle 2000 IU pro danou indikaci, což může být výhodou pro pacienty užívající vyšší dávky přípravku.

Dle zjištění Ústavu předmětný léčivý přípravek **BERIATE**, síla: **2000IU**, lék. forma: **INJ/INF PSO LQF**, **reg. č. 75/206/15-C**, je dle platného SmPC určen k léčbě a profylaxi krvácení u pacientů s hemofilii A (vrozený nedostatek faktoru VIII) a k léčbě získaného nedostatku faktoru VIII.

Na trhu v České republice je v ATC skupině B02BD02 (koagulační faktory, koagulační faktor VIII) aktuálně obchodovaných 41 registrovaných léčivých přípravků, které se používají v podobné terapeutické indikaci jako předmětný léčivý přípravek (viz tabulka níže).

Název léčivého přípravku	Registrační číslo	Doplňěk názvu
ADVATE	EU/1/03/271/010	1500IU INJ PSO LQF 1+1X2ML I
ADVATE	EU/1/03/271/009	1000IU INJ PSO LQF 1+1X2ML I
ADVATE	EU/1/03/271/008	500IU INJ PSO LQF 1+1X2ML I
ADVATE	EU/1/03/271/007	250IU INJ PSO LQF 1+1X2ML I
ADYNOVI	EU/1/17/1247/010	1000IU INJ PSO LQF 1+1X2ML II
ADYNOVI	EU/1/17/1247/006	500IU INJ PSO LQF 1+1X2ML II
ADYNOVI	EU/1/17/1247/014	2000IU INJ PSO LQF 1+1X5ML II
AFSTYLA	EU/1/16/1158/002	500IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML+AD+STR+SET
ELOCTA	EU/1/15/1046/006	2000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
ELOCTA	EU/1/15/1046/007	3000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
ELOCTA	EU/1/15/1046/001	250IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
ELOCTA	EU/1/15/1046/002	500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
ELOCTA	EU/1/15/1046/003	750IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
ELOCTA	EU/1/15/1046/004	1000IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
ELOCTA	EU/1/15/1046/005	1500IU INJ PSO LQF 1+1X3ML ISP
ESPEROCT	EU/1/19/1374/005	3000IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+NAST+ADAPT
ESPEROCT	EU/1/19/1374/004	2000IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+NAST+ADAPT
ESPEROCT	EU/1/19/1374/002	1000IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+NAST+ADAPT
JIVI	EU/1/18/1324/005	3000IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP+AD
JIVI	EU/1/18/1324/004	2000IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP+AD
KOVALTRY	EU/1/15/1076/006	1000IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP II
KOVALTRY	EU/1/15/1076/004	500IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP II
KOVALTRY	EU/1/15/1076/008	2000IU INJ PSO LQF 1+1X5ML ISP II
KOVALTRY	EU/1/15/1076/010	3000IU INJ PSO LQF 1+1X5ML ISP II
KOVALTRY	EU/1/15/1076/002	250IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP II
NOVOEIGHT	EU/1/13/888/002	500IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+AD
NOVOEIGHT	EU/1/13/888/006	3000IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+AD
NOVOEIGHT	EU/1/13/888/005	2000IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+AD
NOVOEIGHT	EU/1/13/888/004	1500IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+AD
NOVOEIGHT	EU/1/13/888/003	1000IU INJ PSO LQF 1+1X4ML ISP+AD
NUWIQ	EU/1/14/936/002	500IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP+SET
NUWIQ	EU/1/14/936/003	1000IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP+SET
NUWIQ	EU/1/14/936/006	3000IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP+SET
NUWIQ	EU/1/14/936/004	2000IU INJ PSO LQF 1+1X2,5ML ISP+SET
OCTANATE*	75/ 410/91-B/C	50IU/ML INJ PSO LQF 1X250IU+1X5ML
OCTANATE*	75/ 004/00-C	100IU/ML INJ PSO LQF 1+1X10ML
OCTANATE 1 000 IU/5 ML*	75/ 140/15-C	200IU/ML INJ PSO LQF 1000IU+5ML
OCTANATE 500 IU/5 ML*	75/ 139/15-C	100IU/ML INJ PSO LQF 500IU+5ML

REFACTO AF	EU/1/99/103/006	500IU INJ PLQ SOL ISP 1+1X4ML+INF SET
REFACTO AF	EU/1/99/103/008	2000IU INJ PLQ SOL ISP 1+1X4ML+INF SET
REFACTO AF	EU/1/99/103/007	1000IU INJ PLQ SOL ISP 1+1X4ML+INF SET

\* vyrobeno z plazmy lidských dárců

Předmětný léčivý přípravek je vyráběn z plazmy lidských dárců. Stejným způsobem je z výše uvedených léčivých přípravků vyráběn pouze léčivý přípravek OCTANATE. Ostatní léčivé přípravky jsou připravené pomocí rekombinantní DNA technologie. Přípravky vyrobené pomocí rekombinantní DNA technologie nemusí být vhodné pro všechny skupiny pacientů, a to především kvůli možnému vzniku inhibitorů faktoru VIII. Na rozdíl od všech léčivých přípravků registrovaných v ATC skupině B02BD02 je pak předmětný léčivý přípravek možné použít i pro léčbu získaného nedostatku faktoru VIII. Z tohoto důvodu považuje Ústav za žádoucí, aby byl předmětný léčivý přípravek na trhu zachován.

Vzhledem k výše uvedenému, kdy je zřejmé, že na trhu není v ATC skupině B02BD02 dostupný žádný jiný léčivý přípravek s obsahem koagulačního faktoru VIII připraveném z plazmy lidských dárců, který by bylo možné použít kromě léčby hemofilie A (vrozený nedostatek faktoru VIII) i pro léčbu získaného nedostatku faktoru VIII, považuje Ústav tuto žádost za odůvodněnou s ohledem na ochranu veřejného zdraví.

Vzhledem k výše uvedenému, kdy je zřejmé, že na trhu není dostupný žádný jiný léčivý přípravek o odpovídajícím složení jako má předmětný léčivý přípravek, považuje Ústav tuto žádost za odůvodněnou s ohledem na ochranu veřejného zdraví.

V průběhu řízení Ústav vyhodnotil podklady a tvrzení předložené účastníkem řízení a další provedené důkazy a podklady shromážděné Ústavem a shledal, že jsou v tomto případě dány podmínky, které odůvodňují udělení výjimky na základě § 34a odst. 3 zákona o léčivech, spočívající v tom, že se na rozhodnutí o registraci předmětného léčivého přípravku, sp. zn. suks135718/2014, nepoužije ustanovení § 34a odst. 1 zákona o léčivech. Žádost byla podána dne 26. 9. 2020, tj. ve lhůtě nejdříve 6 měsíců a nejpozději 3 měsíce přede dnem ukončení lhůty podle § 34a odst. 1 a 3 zákona o léčivech, tj. před 31. 12. 2020.

Z výše uvedeného plyne, že důkazy provedené Ústavem v rámci předmětného správního řízení a podklady shromážděné Ústavem jsou relevantní při posuzování hlediska existence výjimečných okolností s ohledem na ochranu veřejného zdraví v souladu s ustanovením § 34a odst. 3 zákona o léčivech.

Vzhledem k výše uvedenému Ústav rozhodl tak, jak je uvedeno ve výroku rozhodnutí.

### **Poučení o odvolání**

Proti tomuto rozhodnutí je možno podat podle § 81 a násl. správního řádu u Ústavu odvolání, a to ve lhůtě 15 dnů ode dne jeho doručení. O odvolání rozhoduje Ministerstvo zdravotnictví.

Otisk úředního razítka

MUDr. Tomáš Boráň  
ředitel sekce registrací

Toto rozhodnutí nabylo právní moci dne: 11. 11. 2020

Vyznačeno dne: 20. 1. 2021

Za správnost: Bc. Lucie Mrázková