

Dodatok k hodnoteniu zdravotníckej technológie

Liečivo midazolam (Buccolam) na liečbu akútnych konvulzívnych záchvatov trvajúcich viac ako 5 minút u dospelých pacientov s diagnostikovanou epilepsiou

Dodatok k zrýchlenému hodnoteniu lieku

Dodatok je potrebné interpretovať spoločne s hodnotením ZHL221

Číslo žiadosti:

38574

ATC skupina:

N05CD08

ŠÚKL kód:

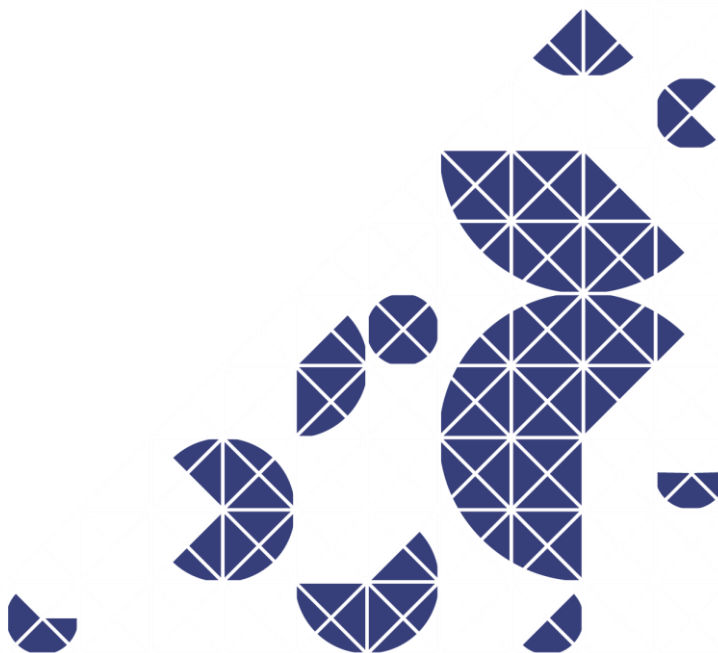
10917

Publikované dňa:

01.06.2026

Link:

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



Záver dodatku k hodnoteniu

Odporúčanie

Podľa § 3 zákona 358/2021 Z. z. Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve (NIHO) odporúča

- **vyhovieť** žiadosti o rozšírenie indikačného obmedzenia lieku Buccolam v indikácii liečbu akútnych konvulzívnych záchvatov trvajúcich viac ako 5 minút u dospelých s diagnostikovanou epilepsiou. Hodnotená výška úhrady 65,03 € za balenie spĺňa kritériá nákladovej efektívnosti podľa §7 ods. 2 zákona 363/2011 Z.

Výsledok hodnotenia nákladovej efektívnosti je pri uvedenej úhrade spojený so strednou mierou neistoty, že v klinickej praxi nebudú splnené kritériá nákladovej efektívnosti, preto odporúčame zväžiť požadovanie adekvátnej zľavy od DR, ktorá zníži túto neistotu.

Odôvodnenie

Vysvetlenie potreby dodatku

Po vydaní hodnotenia NIHO ZHL221 sme akceptovali jednu námietku držiteľa registrácie (DR) v analýze nákladovej efektívnosti, ktorá zmenila mieru neistoty a jednu námietku DR v analýze dopadu na rozpočet. Pristúpili sme preto k vypracovaniu dodatku k hodnoteniu, v ktorom sa vyjadrujeme výlučne k relevantným aspektom podliehajúcim zmene. Dodatok je potrebné interpretovať spoločne s pôvodným hodnotením NIHO ZHL221.

Analýza nákladovej efektívnosti a jej limitácie

- Buccolam pri požadovanej výške úhrady 65 € za balenie spĺňa legislatívnu podmienku nákladovej efektívnosti.
- V pôvodnom nastavení modelu od držiteľa registrácie dosiahol BM voči RD dominantný ICUR, pričom prahová hodnota pri danom nastavení bola 48-tisíc €/QALY. V predložennom základnom scenári sme identifikovali viacero nedostatkov, ktoré sme upravili na klinicky hodnovernejšie.
- Podľa NIHO nastavenia dosahuje BM dominantný ICUR voči RD, pričom prahová hodnota je 48-tisíc €/QALY. BM dosahuje klinický prínos voči RD +0,0014 QALY pri inkrementálnych nákladoch vo výške -6,7-tisíc €.
- **Oproti pôvodnému hodnoteniu NIHO sme upravili mieru neistoty spojenú s výsledkom hodnotenia nákladovej efektívnosti** (pre podrobnejšie informácie pozri časť 1.1 dodatku):
 - Akceptovali sme argumentáciu DR v pripomienkach k hodnoteniu NIHO – mieru neistoty spojenú s výsledkom nákladovej efektívnosti sme zmenili z extrémnej na strednú, keďže DR v pripomienkach poskytol jednosmernú analýzu citlivosti (z angl. One-Way Sensitivity Analysis, OWSA) vychádzajúcu z nastavenia NIHO, v ktorej menil vstupné parametre o $\pm 30\%$ a $\pm 50\%$. Vo všetkých testovaných scenároch zostáva dominantný ICUR intervencie voči komparátoru.
- **Výsledok hodnotenia nákladovej efektívnosti je spojený so strednou mierou neistoty**, že v klinickej praxi nebudú splnené kritériá nákladovej efektívnosti. Hlavný zdroj neistoty vyplýva z modelovania prínosu a nepriamych nákladov na základe výsledkov dotazníkov od klinických expertov a na základe výsledkov štúdie s detskou populáciou pacientov (ktorej prenositeľnosť údajov na dospelú populáciu je spojená s neistotou). Ďalej vyplýva neistota z hodnoty utility u štandardných pacientov v stave po záchvate, v prípade ak bola volaná záchranná zdravotná služba (ZZS).

Dopad na rozpočet

- **Odhadujeme sumárnu úhradu VZP (verejného zdravotného poistenia) za liečbu liekom Buccolam pri hodnotenej úhrade v tretí rok od rozšírenia indikačného obmedzenia vo výške 449-tisíc € a čistý dopad liečby liekom Buccolam vo výške 422-tisíc €.** Odhad dopadu na rozpočet je spojený s miernou neistotou, ktorá vyplýva najmä z odhadu počtu pacientov a odhadu vývoja penetrácie trhu liekom Buccolam.

Poznámka

- Kritériá nákladovej efektívnosti sú používané za účelom efektívnejšieho rozdeľovania zdrojov v zdravotníctve, aby financie mohli priniesť pacientom celkovo čo najviac zdravia. Používanie prostriedkov verejného zdravotného poistenia (VZP) na nákladovo neefektívne lieky môže viesť k zaoštvaniu Slovenska v iných častiach zdravotníctva (napríklad v kvalite nemocníc, počte zdravotných sestier, dĺžke čakacích lehôt na vyšetrenia a pod.).

Vysvetlenie dodatku k hodnoteniu NIHO

Prečo a v akých prípadoch vydávame dodatok k hodnoteniu?

- Dodatok k hodnoteniu nevydávame štandardne pri všetkých hodnoteniach zdravotníckych technológií. NIHO vydáva dodatok, pokiaľ DR v odpovedi na hodnotenie doplní argumentáciu tak, že NIHO zmení svoj postoj k niektorému relevantnému nastaveniu vo farmako-ekonomickom modelovaní. NIHO vydá dodatok, pokiaľ takáto zmena ovplyvní znenie odporúčania, prípadne výrazne ovplyvní výšku úhrady nutnú pre splnenie kritérií nákladovej efektivity.
- Dodatok plne nenahrádza hodnotenie NIHO. V dodatku sa vyjadrujeme výlučne k jednotlivým relevantným zmenám a aspektom, ktoré majú vplyv na záver hodnotenia. Dodatok je potrebné brať do kontextu v súlade s hodnotením NIHO.

Obsah

Záver dodatku k hodnoteniu	2
Obsah	3
Použité skratky	3
Sumár priebehu konania.....	4
Informácie o dokumente.....	5
1. Hodnotenie nákladovej efektívnosti	6
1.1. Analýza citlivosti a neistota výsledku (G0007)	6
2. Zdroje.....	7

Použité skratky

AE	Nežiaduca udalosť (z angl. Adverse Event)
ATC	Anatomicko-terapeuticko-chemický kód, systém klasifikácie liečiv (z angl. The Anatomical Therapeutic Chemical code)
ATMP	Liek na inovatívnu liečbu (z angl. advanced therapy medicinal product)
AUC	Plocha pod krivkou (z angl. area under the curve)
AUC _{0-inf}	Plocha pod krivkou plazmatickej koncentrácie v závislosti od času nula do nekonečna (z angl. area under the curve)
BM	Bukálny midazolam
CE	Označenie európskej zhody (z fr. Conformité Européenne)
CI	Konfidenčný interval, interval spoľahlivosti (z angl. Confidence Interval)
C _{max}	Maximálna koncentrácia
DCO	Dátum ukončenia zberu dát (z angl. data cut-off)
DR	Držiteľ registrácie
EBM	Medicína založená na dôkazoch (z angl. Evidence-Based Medicine)
EMA	Európska lieková agentúra (z angl. European Medicines Agency)
EQ-5D	Dotazník kvality života EuroQoL skupiny, 5 hodnotených oblastí (z angl. The EuroQol five-dimensions)
EUnetHTA	Európska sieť HTA agentúr (z angl. European Network for Health Technology Assessment)

HDP	Hrubý domáci produkt
HRQoL	Kvalita života súvisiaca so zdravím (z angl. Health Related Quality of Life)
HTA	Hodnotenie zdravotníckych technológií (z angl. Health Technology Assessment)
ICUR	Pomer inkrementálnych nákladov a prínosov (z angl. Incremental Cost-Utility Ratio)
IO	Indikačné obmedzenie
MEA	Dohoda o riadenom vstupe, na Slovensku ide o zmluvu o podmienkach úhrady lieku (z angl. Managed Entry Agreement)
MKCH-10	Medzinárodná klasifikácia chorôb, 10. revízia
MZ SR	Ministerstvo zdravotníctva Slovenskej republiky
NCZI	Národné centrum zdravotníckych informácií
NICE	Anglický Národný inštitút pre excelentnosť v oblasti zdravotníctva (z angl. The National Institute for Health and Care Excellence)
NIHO	Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
OS	Celkové prežívanie (z angl. Overall survival)
OWSA	Jednosmerná analýza citlivosti (z angl. One-Way Sensitivity Analysis)
PICO	Populácia, intervencia, komparátor, ukazovatele (z angl. Population, Intervention, Comparator, Outcomes)
PK	Farmakokinetický (z angl. pharmacokinetic)
popPK	Populačná farmakokinetická štúdia
QALY	Rok života v štandardizovanej kvalite (z angl. Quality-Adjusted Life Year)
RCT	Randomizovaná kontrolovaná klinická štúdia (z angl. Randomized Controlled Trial)
RD	Rektálny diazepam

Sumár priebehu konania

Podanie žiadosti o kategorizáciu	27.11.2025
Prvé začatie plynutia lehoty na vydanie rozhodnutia vo veci kategorizácie	28.11.2025
Vydanie hodnotenia NIHO	02.04.2026
Vyjadrenie DR k hodnoteniu NIHO	22.04.2026
Stanovisko NIHO k vyjadreniu DR (zaslané MZ SR)	01.06.2026
Vydanie Dodatku k hodnoteniu lieku	01.06.2026

Popis doterajšieho priebehu konania:

Po vydaní hodnotenia NIHO dňa 02.04.2026 DR predložil cez portál kategorizácie svoje vyjadrenie, v ktorom namietal viaceré aspekty NIHO hodnotenia. NIHO odpovedalo na tieto pripomienky DR stanoviskom, ktoré dodalo MZ SR. Zároveň NIHO vydalo dodatok, nakoľko akceptovanie námietky zo strany DR malo vplyv na záver NIHO hodnotenia.

Informácie o dokumente

Autori Dodatku:

Vagač Bianka, M.Sc.

Mgr. Viktor Varga, PhD.

Rola autorov: BV je prvou autorkou dodatku; VV je druhým autorom dodatku.

Vydavateľ a zodpovedný za obsah:

Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve

Zámocké schody 2/A, 811 01, Bratislava

kancelaria@niho.sk

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.

1. Hodnotenie nákladovej efektívnosti

V dodatku popisujeme zmenu vykonanú v hodnotení nákladovej efektívnosti oproti pôvodnému hodnoteniu. Zmena bola vykonaná pri vypracovaní stanoviska NIHO na základe akceptovania pripomienky DR k hodnoteniu NIHO. Túto zmenu popisujeme spolu so zdôvodnením opätovne aj v predmetnom dodatku pre lepšiu prehľadnosť.

1.1. Analýza citlivosti a neistota výsledku (G0007)

V pôvodnom hodnotení NIHO sme odporúčali dodatočnú zľavu z DR navrhovanej úhrady z dôvodu extrémnej miery neistoty. DR vo svojom vyjadrení k hodnoteniu NIHO [1] nesúhlasí s extrémnou mierou neistoty. DR súhlasí, že niektoré parametre (vychádzajúce z odhadov odborníkov v rámci dotazníkového prieskumu alebo prenositeľnosť údajov na dospelú populáciu) sú zaťažené neistotou, avšak argumentuje, že pri takmer akejkoľvek úprave vstupov v analýze nákladovej efektívnosti zostáva hodnotená intervencia oproti komparátoru dominantnou. DR dodal jednosmernú analýzu citlivosti (OWSA) vychádzajúcu z nastavenia NIHO, v ktorej menil vstupné parametre o $\pm 30\%$ a $\pm 50\%$. Vo všetkých testovaných scenároch zostáva ICUR intervencie voči komparátoru dominantný.

Vyjadrenie NIHO (aktualizácia záveru):

Námietku DR akceptujeme. Akceptovali sme zdôvodnenie DR a na základe dodaných OWSA sme upravili mieru neistoty z extrémnej na strednú. Stredná miera neistoty naďalej vyplýva z dôvodu, že analýza nákladovej efektívnosti je postavená na odhadoch odborníkov v rámci dotazníkového prieskumu a 3 parametroch vychádzajúcich z detskej štúdie McIntyre et al. (2005) s nízkou internou a externou validitou a neistotou súvisiacou s prenositeľnosťou parametrov na požadovanú dospelú populáciu pacientov.

2. Zdroje

[1] Vyjadrenie DR k hodnoteniu NIHO ZHL221, podané dňa 22.04.2026 cez portál kategorizácie (ID 38574). Plné znenie poskytnuté prostredníctvom neverejnej zóny.