



Národný inštitút
pre hodnotu
a technológie
v zdravotníctve

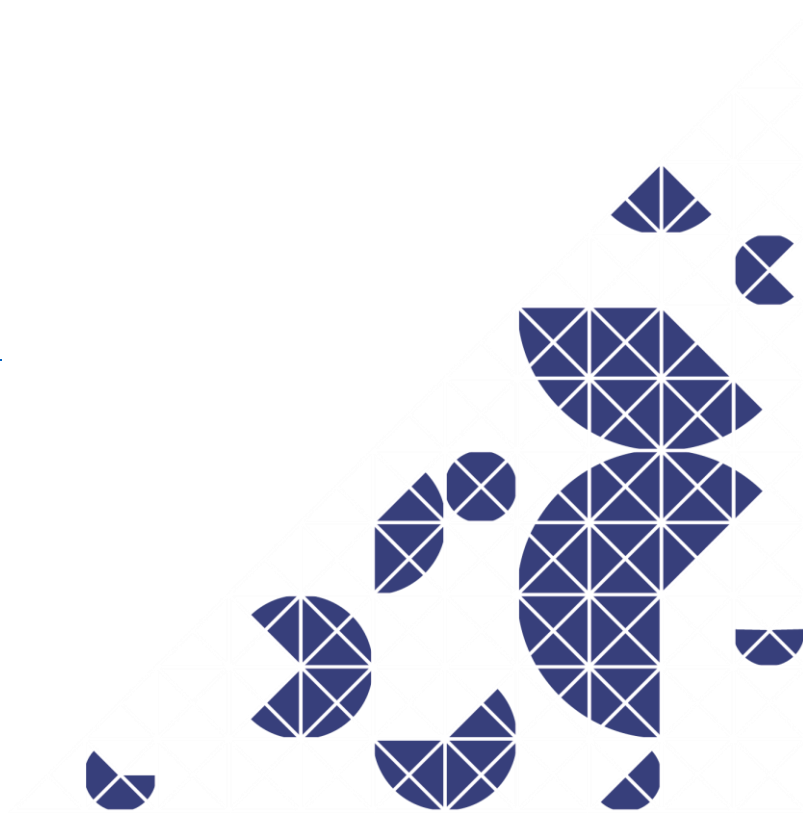
Liek Alyftrek – Informácie pre verejnosť o odbornom hodnotení (laický sumár)

Číslo hodnotenia:
L244

Hodnotenie publikované dňa:
16.09.2026

Link na zverejnené hodnotenie:
<https://niho.sk/publikovane-projekty/>

Laický sumár publikovaný dňa:
16.09.2026



Aký liek sme hodnotili

Hodnotili sme liek Alyftrek, ktorý obsahuje liečivá deutivakaftor, tezakaftor a vanzakaftor. Liek sa používa na liečbu cystickej fibrózy u pacientov vo veku od šiest rokov. Cystická fibróza je dedičné ochorenie, ktoré má závažný vplyv na pľúca, tráviaci systém a ďalšie orgány. Cystickú fibrózu môžu spôsobovať rôzne zmeny (mutácie) v géne, ktorý obsahuje pokyny na tvorbu proteínu nazývaného transmembránový regulátor vodivosti pri cystickej fibróze (CFTR). Mutácie v géne CFTR sú zoskupené do piatich rôznych tried (trieda I až V) na základe problémov, ktoré spôsobujú pri tvorbe proteínu CFTR. Liek Alyftrek je v Európskej únii povolený na liečbu pacientov, ktorých cystická fibróza je spôsobená aspoň jednou mutáciou, ktorá nie je mutáciou triedy I. Mutácie triedy I sú mutácie, ktorých výsledkom je, že sa nevytvára proteín CFTR.

Prečo sme liek hodnotili

Zo zdravotného poistenia sa štandardne platia lieky, ktoré sú kategorizované. O kategorizácii rozhoduje ministerstvo zdravotníctva na základe žiadosti farmaceutickej spoločnosti (držiteľa registrácie lieku). Podmienky kategorizácie sú určené zákonom. Medzi tieto podmienky patrí účinnosť a bezpečnosť lieku, prínos lieku pri znižovaní chorobnosti a úmrtnosti, odporúčané postupy pri liečbe, náklady na liek, aj porovnanie prínosov a nákladov lieku s inými možnosťami liečby, ktorá sa na Slovensku používa a platí zo zdravotného poistenia.

Pri kategorizácii lieku ministerstvo určí aj to, pre akých pacientov (pri akých indikáciach) bude liek hrađený. Môže sa stať, že liek je v Európskej únii povolený pre viacero skupín pacientov a na Slovensku je hrađený iba niektorým z nich. Stáva sa to v prípade, ak liek spĺňa podmienky kategorizácie iba pri určitých skupinách pacientov.

Našou úlohou bolo vyhodnotiť, či liek Alyftrek spĺňa podmienky kategorizácie pri použití lieku pre pacientov straších ako šesť rokov, ktorých cystická fibróza je spôsobená aspoň jednou mutáciou, ktorá nie je mutáciou triedy I.

Ako sme liek hodnotili

Vychádzali sme z údajov od farmaceutickej spoločnosti, odporúčaných postupov pri liečbe cystickej fibrózy, informácií od slovenských odborníkov – špecialistov na liečbu tohto ochorenia, aj z informácií poskytnutých patientskou organizáciou. Zistili sme, že pacienti, ktorých cystická fibróza je spôsobená aspoň jednou mutáciou, ktorá nie je mutáciou triedy I., sú na Slovensku štandardne liečení dvomi spôsobmi:

- Kombináciou liekov Kalftrio a Kalydeco sú liečení pacienti, ktorí majú v géne CFTR aspoň jednu mutáciu, ktorá sa nazýva F508del. Ide o najčastejšiu genetickú mutáciu, ktorá spôsobuje cystickú fibrózu.
- Ostatní pacienti, ktorí takúto mutáciu nemajú, dostávajú najlepšiu podpornú liečbu. Podporná liečba nelieči samotné ochorenie, ale pomáha zvládať jeho príznaky. V prípade cystickej fibrózy

ide najmä o kombináciu liečby pľúcnych komplikácií, komplikácií v oblasti tráviaceho traktu, podporu výživy a zvládanie infekcií.

Prínosy a náklady lieku Alyftrek sa musia porovnať s oboma štandardnými možnosťami liečby. Takáto štandardná liečba, s ktorou sa nový liek porovnáva, sa v našom hodnotení nazýva komparátor.

Porovnanie lieku s inými možnosťami liečby musí byť založené na dôkazoch. Na základe dôkazov od farmaceutickej spoločnosti sme mohli porovnať prínosy a náklady lieku Alyftrek voči kombinácii liekov Kalftrio a Kalydeco. Prínosy a náklady voči najlepšej podpornej liečbe sme ale porovnať nemohli. Farmaceutickú spoločnosť sme preto požiadali o doloženie chýbajúcich dôkazov. Dôkazy, ktoré sme žiadali, nám farmaceutická spoločnosť nedoložila. Bez týchto dôkazov nebolo možné vyhodnotiť, aké sú prínosy a náklady lieku Alyftrek voči najlepšej podpornej liečbe.

K akému záveru sme dospeli

Ministerstvu sme odporúčali liek kategorizovať pre pacientov s cystickou fibrózou vo veku od šiest rokov, ktorí majú na géne CFTR aspoň jednu mutáciu, ktorá sa nazýva F508del, ak farmaceutická spoločnosť zníži navrhovanú cenu lieku. Zistili sme, že liek Alyftrek má u týchto pacientov podobný prínos ako liečba liekmi Kalftrio a Kalydeco. Cena navrhovaná farmaceutickou spoločnosťou nezodpovedala tomuto prínosu. To, aká môže byť cena lieku na základe jeho prínosu, určuje zákon a vyhláška ministerstva zdravotníctva.

Vo vzťahu k ostatným pacientom liek Alyftrek podľa nás nespĺňa podmienky kategorizácie dané zákonom. Farmaceutická spoločnosť nedoložila dôkazy potrebné na porovnanie lieku s najlepšou podpornou liečbou, ktorá sa na Slovensku štandardne používa a platí zo zdravotného poistenia. Aj slovenskí odborníci nám potvrdili, že štandardnou liečbou týchto pacientov je najlepšia podporná liečba.

Ako sme využili patientsky vstup

Do každého nášho hodnotenia sa môže zapojiť patientska organizácia, ktorá zastupuje pacientov s daným ochorením. Zapojenie sa uskutočňuje zaslaním [vyplneného dotazníka](#) – vstupu patientskej organizácie. Do hodnotenia lieku Alyftrek sa zapojila patientska organizácia Slovenská Asociácia Cystickej Fibrózy. Upozornila nás na obrovskú záťaž ochorenia, ktoré zásadne mení život rodiny už od prvých príznakov. Zdôraznila, že liek by mal zásadný význam najmä pre pacientov liečených najlepšou podpornou liečbou. Pacienti a ich rodiny od lieku Alyftrek očakávajú predovšetkým stabilizáciu ochorenia, spomalenie alebo zastavenie progresie pľúcneho poškodenia, zníženie počtu stavov náhleho zhoršenia ochorenia, menej antibiotickej liečby a hospitalizácií, zlepšenie výživy a hmotnosti, fyzickej výkonnosti a kvality života. Prednosťou lieku je aj jeho užívanie iba raz denne. Vyplnený dotazník so všetkými odpoveďami sme zapracovali do hodnotenia. Ministerstvo má naše hodnotenie k dispozícii a môže pohľad pacientov zvážiť. Perspektíva pacientov je dôležitá. Nie je však kritériom kategorizácie podľa zákona. Nenahrádza dôkazy o výsledkoch lieku, ktoré musí predložiť farmaceutická spoločnosť.

Aký je ďalší postup

Farmaceutická spoločnosť môže poslať svoje pripomienky voči nášmu hodnoteniu. Tieto pripomienky preskúmame a vypracujeme k nim naše stanovisko. Potom zasadne kategorizačná komisia, zložená zo zástupcov lekárov, pacientov, zdravotných poisťovní a ministerstva. Jedným z členov komisie je aj zástupca NIHO, ktorý ale nemá hlasovacie právo. Komisia ministerstvu odporučí, ako má o lieku rozhodnúť. Konečné rozhodnutie je na ministerstve.

Rozhodnutie ministerstva bude zverejnené na kategorizačnom portáli v konaní o lieku Alyftrek: <https://kategorizacia.mzsr.sk/Lieky/Common/Details/39348>

Kde sú dostupné ďalšie informácie

- Odborné hodnotenie lieku Alyftrek NIHO: <https://niho.sk/publikovane-projekty/>
- Prehľad o lieku Alyftrek na webe Európskej agentúry pre lieky (EMA): [https://www.ema.europa.eu/sk/documents/overview/alyftrek-epar-medicine-overview sk.pdf](https://www.ema.europa.eu/sk/documents/overview/alyftrek-epar-medicine-overview-sk.pdf)
- Ďalšie informácie o lieku Alyftrek: <https://www.sukl.sk/alyftrek-50-mg-20-mg-4-mg-filmom-obalene-tablety-0610f>

Aké právne predpisy upravujú náš postup

- **Zákon č. 363/2011 Z. z.** o rozsahu a podmienkach úhrady liekov, zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín na základe verejného zdravotného poistenia a o zmene a doplnení niektorých zákonov (kritériá kategorizácie sú uvedené v § 7 a § 90)
- **Zákon č. 358/2021 Z. z.** o Národnom inštitúte pre hodnotu a technológie v zdravotníctve a o zmene a doplnení niektorých zákonov
- **Vyhláška Ministerstva zdravotníctva SR č. 298/2022 Z. z.**, ktorou sa ustanovujú podrobnosti výpočtu príslušného násobku hrubého domáceho produktu pre stanovenie prahovej hodnoty posudzovaného lieku
- **Vyhláška Ministerstva zdravotníctva SR č. 422/2011 Z. z.** o podrobnostiach farmako-ekonomického rozboru lieku