

**VAISTINIŲ PREPARATŲ IR MEDICINOS PAGALBOS PRIEMONIŲ
KOMPENSAVIMO KOMISIJOS POSĖDŽIO
PROTOKOLAS**

2024 m. kovo 28 d. Nr. LKV-6/24
Vilnius

Komisijos pirmininkė – Ieva Greičiūtė-Kuprijanov.

Komisijos sekretorė – Dovilė Zacharkienė.

Posėdis vyko nuotoliniu būdu per Microsoft Teams programą. Dalyvavo Komisijos nariai: I. Greičiūtė-Kuprijanov, S. Abramavičius, A. Jablonskis, E. Kvedaraitė, E. Monstavičius, G. Zuozienė, E. Žiginskienė, G. Žižys, VVKT atstovai: L. Gorobets, R. Pilvinienė, B. Venclovaitė, VLK atstovės: G. Petronytė ir D. Valickaitė, Sekretoriatas: D. Zacharkienė.

DARBOTVARKĖ:

1. Dėl galimybės kompensuoti vaistinį preparatą:

1.1. lumakaftorą / ivakaftorą (Orkambi), skirtą gydyti cistinei fibrozei (TLK-10-AM kodas E84) 2 metų ir vyresniems pacientams, kurie yra homozigotiniai CFTR geno F508del mutacijos atžvilgiu (TLK-10-AM kodas E84) (pareiškėjas – UAB „Medison Pharma Lithuania“);

1.2. ivakaftorą / tezakaftorą / eleksakaftorą su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco), skirto 6 metų ir vyresniems pacientams, sergantiems cistine fibroze (TLK-10-AM kodas E84) gydyti, kuriems yra bent viena CFTR geno F508del mutacija (pareiškėjas – UAB „Medison Pharma Lithuania“);

2. Dėl enterinių mišinių ir jų naudojimui reikalingų priemonių kompensavimo.

3. Dėl UAB „Medfiles“ 2024 m. kovo 4 d. rašto „Dėl nuolatinės gliukozės kiekio matavimo sistemos „Dexcom ONE+“ įtraukimo į kompensuojamųjų vaistų ir pagalbos priemonių sąrašus“ ir UAB „Borea avis“ 2024 m. kovo 19 d. rašto „Dėl LR SAM 2009 m. spalio 23 d. įsakymo Nr. V-880 „Dėl ambulatoriniam gydymui skirtų kompensuojamųjų medicinos pagalbos priemonių grupių ir šioms grupėms priskiriamų medicinos pagalbos priemonių jų bazinei kainai apskaičiuoti sąrašo patvirtinimo“ sąrašo“ papildymo.

4. Kiti, papildomi klausimai.

Darbotvarkės 1.1 ir 1.2 klausimai svarstyti kartu. Posėdyje nebuvo svarstyti 2 ir 3 klausimai. Jie perkelti į 2024 m. balandžio 11 d. Komisijos posėdžio darbotvarkę.

Komisijos pirmininkė apklausia Komisijos narius ir posėdyje dalyvaujančius specialistus dėl galimo interesų konflikto.

SVARSTYTA: 1. Dėl galimybės kompensuoti vaistinį preparatą:

SVARSTYTA: 1.1. lumakaftorą / ivakaftorą (Orkambi), skirtą gydyti cistinei fibrozei (TLK-10-AM kodas E84) 2 metų ir vyresniems pacientams, kurie yra homozigotiniai CFTR geno F508del mutacijos atžvilgiu (TLK-10-AM kodas E84) (pareiškėjas – UAB „Medison Pharma Lithuania“);

Komisijos sekretorius papildomai apklausia Komisijos narius ir specialistus dėl galimo interesų konflikto.

Primenama, kad galimybė kompensuoti vaistinį preparatą lumakaftorą / ivakaftorą (Orkambi) buvo svarstyta 2023 m. liepos 27 d. (protokolo Nr. LKV-19/23) ir 2024 m. sausio 18 d. (protokolo Nr. LKV-1/24) Komisijos posėdžiuose.

Primenama, kad Valstybinės vaistų kontrolės tarnybos prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos (toliau – VVKT) atstovai Komisijos nariams pristatė informaciją ir rekomendaciją dėl šio vaistinio preparato (konfidenciali informacija pridedama).

VVKT įvertinusi pareiškėjo pateiktą informaciją nurodė, kad siūlomo kompensuoti vaistinio preparato:

1. palyginamasis efektyvumas yra didesnis;
2. klinikinis veiksmingumas yra įvertintas kaip pagrindžiantis papildomos naudos pacientų sveikatai sukūrimą, lyginant su įprasta klinicine praktika;
3. kaštų naudingumas neatitinka referencinės kaštų naudingumo vertės Lietuvos Respublikoje.

Vadovaudamasi Vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių įrašymo į kompensavimo sąrašus ir jų keitimo tvarkos aprašo, patvirtinto Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. balandžio 5 d. įsakymu Nr. V-159 „Dėl vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių įrašymo į kompensavimo sąrašus ir jų keitimo tvarkos aprašo patvirtinimo“ (toliau – Tvarkos aprašo) 34.4 papunkčiu VVKT pateikė rekomendaciją *nekompensuoti* vaistinio preparato pagal paraiškoje nurodytą indikaciją be skyrimo sąlygų, taikant Prieinamumo gerinimo schemą (toliau – PGS) dėl vertinimo išvadų, nurodytų 33.3 papunktyje, neatitikties 34.1 papunktyje išdėstytais sąlygoms.

Tačiau, remdamasi Tvarkos aprašo 35 punktu, VVKT Komisijai pateikė papildomas pastabas ir pasiūlymus, susijusias su paraiškos vertinimu. Atsižvelgiant į nepatenkintą cistinės fibrozės (toliau – CF) etiopatogenezinio gydymo poreikį (šiuo metu taikomas tik simptominis gydymas, siūlė kompensuoti vaistinį preparatą lumakaftorą / ivakaftorą (Orkambi) su sąlyga, kad vaistinio preparato kaštų naudingumas bus pagerintas (*konfidenciali informacija*).

Taip pat VVKT rekomendavo sukurti CF gydymo tvarkos aprašą, kuriame būtų apibrėžta pacientų populiacija, kuriai tinka farmakoterapinis gydymas, bei nurodytos skyrimo sąlygos pradedant gydymą, gydymo veiksmingumo vertinimo kriterijai bei gydymo nutraukimo kriterijai.

VVKT siūlytos skyrimo sąlygos:

1. Liga yra stabili, t. y. nėra nustatytos aktyvios ūminės viršutinių ir apatinių kvėpavimo takų infekcijos bei nėra simptominio gydymo korekcijos poreikio;
2. Nustatyta homozigotinė F508del-CFTR (F508del/F508del – F/F genotipas) mutacija;
3. Esant stabiliai ligai, spirometrijos metu nustatytas forsutas iškvėpimo tūris per 1 sekundę (FEV_1) < 70% norminio dydžio;
4. 6 – 11 metų pacientams spirometrijos metu nustačius $FEV_1 \geq 70\%$ norminio dydžio, inertinių dujų iškvėpimo metodu nustatomas plaučių klirenso indeksas ($LCI_{2,5}$) $\geq 7,5$.
5. Vaikams nuo 2 metų rekomenduojama skirti įvertinus paciento sveikatos būklę, t. y. inertinių dujų iškvėpimo metodu nustatomas plaučių klirenso indeksas ($LCI_{2,5}$) $\geq 7,5$; chloridų jonų koncentracija praikaite >100 mmol/l; KMI < 18 kg/m².

Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos (toliau – VLK) vertinimu prognozuojamos Privalomojo sveikatos draudimo fondo (toliau – PSDF) biudžeto išlaidos, jei vaistinis preparatas būtų skiriamas 33-63 pacientams pirmaisiais–penktaisiais kompensavimo metais, sudarytų ir didėtų apie 4,4 mln. Eur. pirmaisiais kompensavimo metais iki apie 8,4 mln. Eur. penktaisiais kompensavimo metais.

Komisija 2023 m. liepos 27 d. posėdžio metu nutarė kreiptis į Tarpinstitucinę derybų dėl vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių kainų nustatymo komisiją (toliau – Derybų komisija) su prašymu derėtis dėl mažesnės kainos. Taip pat nustatė šias, vaistinio preparato skyrimo sąlygas: „1) Liga yra stabili, t. y. nėra nustatytos aktyvios ūminės viršutinių ir apatinių kvėpavimo takų infekcijos bei nėra simptominio gydymo korekcijos poreikio; 2) Nustatyta homozigotinė F508del-CFTR (F508del/F508del – F/F genotipas) mutacija; 3) Esant stabiliai ligai, spirometrijos metu nustatytas forsutas iškvėpimo tūris per 1 sekundę (FEV_1) < 70% norminio dydžio; 4) 6 – 11 metų pacientams spirometrijos metu nustačius $FEV_1 \geq 70\%$ norminio dydžio, inertinių dujų iškvėpimo metodu nustatomas plaučių klirenso indeksas ($LCI_{2,5}$) $\geq 7,5$; 5) Vaikams nuo 2 metų rekomenduojama skirti, įvertinus paciento sveikatos būklę, t. y. inertinių dujų iškvėpimo metodu nustatomas plaučių klirenso indeksas ($LCI_{2,5}$) $\geq 7,5$; chloridų jonų koncentracija praikaite >100 mmol/l; KMI < 18 kg/m². O jeigu bus priimti teigiami sprendimai dėl abiejų vaistinių preparatų ivakaftoro/tezakaftoro/eleksakaftoro su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) ir lumakaftoro/ivakaftoro

(Orkambi), tuomet vaistinio preparato lumakaftoro/ivakaftoro (Orkambi) skyrimo sąlygas pakeisti taip, jog jo skyrimas būtų leidžiamas tik vaikams nuo 2 iki 5 metų amžiaus“.

SVARSTYTA: 1.2. ivakaftorą / tezakaftorą / eleksakaftorą su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco), skirto 6 metų ir vyresniems pacientams, sergantiems cistine fibroze (TLK-10-AM kodas E84) gydyti, kuriems yra bent viena CFTR geno F508del mutacija (pareiškėjas – UAB „Medison Pharma Lithuania“);

Galimybė kompensuoti vaistinį preparatą ivakaftorą / tezakaftorą / eleksakaftorą su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) buvo svarstyta 2023 m. liepos 27 d. (protokolo Nr. LKV-19/23) ir 2024 m. sausio 18 d. (protokolo Nr. LKV-1/24) Komisijos posėdžiuose.

Primenama, kad VVKT atstovai Komisijos nariams pristatė informaciją ir rekomendaciją dėl šio vaistinio preparato (konfidenciali informacija pridedama). VVKT įvertinusi pareiškėjo pateiktą informaciją nurodė, kad siūlomo kompensuoti vaistinio preparato:

1. palyginamasis efektyvumas yra didesnis;
2. klinikinis veiksmingumas yra įvertintas kaip pagrindžiantis papildomos naudos pacientų sveikatai sukūrimą, lyginant su įprasta klinicine praktika;
3. kaštų naudingumas neatitinka referencinės kaštų naudingumo vertės Lietuvos Respublikoje.

Vadovaudamasi Tvarkos aprašo 34.4 papunkčiu VVKT pateikė rekomendaciją *nekompensuoti* vaistinio preparato pagal paraiškoje nurodytą indikaciją be skyrimo sąlygų, taikant PGS dėl vertinimo išvadų, nurodytų 33.3 papunktyje, neatitikties 34.1 papunktyje išdėstytoms sąlygoms.

Tačiau, VVKT, remdamasi Tvarkos aprašo 35 punktu, Komisijai pateikė papildomas pastabas ir pasiūlymus, susijusias su paraiškos vertinimu. Atsižvelgiant į nepatenkintą CF etiopatogenezinio gydymo poreikį (šiuo metu taikomas tik simptominis gydymas, pasiūlė kompensuoti vaistinį preparatą ivakaftorą / tezakaftorą / eleksakaftorą su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco), su sąlyga, kad vaistinio preparato kaštų naudingumas bus pagerintas (*konfidenciali informacija*).

VVKT taip pat pasiūlė tokias skyrimo sąlygas:

1. Liga yra stabili, t. y. nėra nustatytos aktyvios ūminės viršutinių ir apatinių kvėpavimo takų infekcijos bei nėra simptominio gydymo korekcijos poreikio;
2. Nustatyta homozigotinė F508del-CFTR (F508del/F508del – F/F genotipas) mutacija arba heterozigotinė F508del-CFTR mutacija ir kita mutacija, dėl kurios negaminamas CFTR baltymas arba jis nereaguoja į CFTR modulatorius (F508del/MF – F/MF genotipas);
3. Esant stabiliai ligai, spirometrijos metu nustatytas forsutas iškvėpimo tūris per 1 sekundę (FEV_1) < 70% norminio dydžio;
4. 6 – 11 metų pacientams spirometrijos metu nustačius $FEV_1 \geq 70\%$ norminio dydžio, inertinių dujų iškvėpimo metodu nustatomas plaučių klirenso indeksas ($LCI_{2,5}$) $\geq 7,5$.

Komisijos pirmininkė pasiteiravo, ar skyrimo sąlygos buvo derintos su gydytojais pulmonologais bei ar Lietuvoje gydymo įstaigos turi galimybę nustatyti genotipus. VVKT atstovas informavo, kad skyrimo sąlygos nebuvo derintos su gydytojais pulmonologais, tačiau jos buvo parengtos atsižvelgiant į VšĮ Vilniaus universiteto ligoninės Santaros klinikų gydytojų pulmonologų pateiktą cistinės fibrozės gydymo aprašą. Galimybes nustatyti F/F genotipą sveikatos priežiūros įstaigos turi.

VLK įvertino prognozuojamas PSDF biudžeto išlaidas, jei vaistinis preparatas būtų skiriamas 47-87 pacientams pirmaisiais–penktaisiais kompensavimo metais. Jos sudarytų ir didėtų apie 10 mln. Eur. pirmaisiais kompensavimo metais iki apie 18 mln. Eur. penktaisiais kompensavimo metais.

Komisija, 2023 m. liepos 27 d. posėdyje, prieš priimdama galutinį sprendimą, vadovaudamasi Tvarkos aprašo 55.1 papunkčiu, nusprendė kreiptis į Derybų komisiją su prašymu derėtis dėl mažesnės ivakaftoro / tezakaftoro / eleksakaftoro su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco)

kainos. Taip pat nustatė vaistinio preparato skyrimo sąlygas: 1) Liga yra stabili, t. y. nėra nustatytos aktyvios ūminės viršutinių ir apatinių kvėpavimo takų infekcijos bei nėra simptominio gydymo korekcijos poreikio; 2) Nustatyta homozigotinė F508del-CFTR (F508del/F508del – F/F genotipas) mutacija arba heterozigotinė F508del-CFTR mutacija ir kita mutacija, dėl kurios negaminamas CFTR baltymas arba jis nereaguoja į CFTR modulatorius (F508del/MF – F/MF genotipas); 3) Esant stabiliai ligai, spirometrijos metu nustatytas forsuoatas iškvėpimo tūris per 1 sekundę (FEV_1) < 70% norminio dydžio; 4) 6 – 11 metų pacientams spirometrijos metu nustatytas $FEV_1 \geq 70\%$ norminio dydžio, inertinių dujų iškvėpimo metodu nustatomas plaučių klirenso indeksas ($LCI_{2,5}$) $\geq 7,5$.

Reaguodama į Komisijos siūlymus Lietuvos retų plaučių ligų gydytojų draugija (toliau – Draugija) 2023 m. rugpjūčio 11 d. raštu „Dėl Vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių kompensavimo komisijos posėdžio, vykusio 2023 07 27, protokolo Nr. LKV-19/23“ kreipėsi į Komisiją ir nurodė, kad iš dalies pritaria dėl LSMU Kauno klinikų ir VU ligoninės Santaros klinikų vaikų ir suaugusiųjų specialistų įsipareigojimo paruošti cistinės fibrozės gydymo cistinės fibrozės transmembraninį potencialą reguliuojančio baltymo (CFTR) modulatoriais tvarkos aprašo rekomendacijas. Tačiau nesutinka su protokole nurodytomis skyrimo sąlygomis, nes jų manymu tokie ribojimai pažeistų pacientų teisę laiku gauti patogenezinį gydymą, kol liga nėra pažengusi ir kai gydymo efektyvumas yra geriausias. Taip pat tai sudarytų prielaidas pacientų sąmoningam nebendradarbiavimui gydyme tam, kad liga progresuotų ir būtų išpildytos gydymo CFTR modulatoriais skyrimo sąlygos.

Taip pat draugija griežtai pasisakė, kad vaistų skyrimo sąlygos turi atitikti tik tas terapines indikacijas, dozavimą, vartojimo būdą, kontraindikacijas ir išpėjimus, kurie nurodyti Europos Sąjungoje registruotų vaistinių preparatų charakteristikų santraukose. Ir patikino, kad yra pasirengę dalyvauti konstruktyvioje diskusijoje ir kartu ieškoti sprendimų, kurie geriausiai atitiktų pacientų poreikius, įrodymais grįstos medicinos rekomendacijas bei Lietuvos valstybės galimybes rūpintis savo piliečiais bei ateitimi.

VVKT atstovai paaiškino, kad siūlomos skyrimo sąlygos yra parengtos atsižvelgiant į pacientų populiaciją iš klinikinių tyrimų, kuriuose palyginamasis gydymas atitiko įprastinę klinikinę praktiką Lietuvoje (geriausią simptominių gydymą). VVKT būtų priimtina, kad gydytojai specialistai pateiktų siūlymą dėl skyrimo sąlygų pagal tikslines pacientų populiacijas.

Derybų komisija 2023 m. lapkričio 28 d. raštu Nr. 4K-5826 „Dėl informacijos pateikimo dėl derybų su vaistinių preparatų ivakaftoro / tezakaftoro /eleksakaftoro (Kaftrio) ir ivakaftoro (Kalydeco) bei lumakaftoro / ivakaftoro (Orkambi) gamintoju“ informavo Komisiją, kad vykdydama Komisijos pavedimą derėtis dėl šių vaistinių preparatų, baigė derybas su Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH (toliau – Gamintojas).

Derybų komisija informavo, kad kreipėsi į Gamintoją prašydama vaistiniams preparatams suteikti kainos nuolaidas (*konfidenciali informacija*).

Gamintojui nesutikus taikyti prašytų kainos nuolaidų, Derybų komisija pakartotinai kreipėsi į Gamintoją, prašydama vaistiniams preparatams suteikti kainos nuolaidas (*konfidenciali informacija*).

Pateikiama konfidenciali informacija.

Atsižvelgiant į tai, kas nurodyta, Derybų komisija informavo, kad Gamintojas neturi galimybių sumažinti vaistinių preparatų kainų ir suteikti tokias kainų nuolaidas (*konfidenciali informacija*).

Taip pat informavo, kad Derybų komisija 2023 m. lapkričio 23 d. atnaujino derybas su Gamintoju dėl vaistinių preparatų ivakaftoro / tezakaftoro / eleksakaftoro (Kaftrio) ir ivakaftoro (Kalydeco) įsigijimo išlaidų kompensavimo iš PSDF biudžeto lėšų, skirtų labai retoms žmogaus sveikatos būklėms gydyti.

Įvertinusi nurodyta aukščiau bei atsižvelgdama į tai, kad šios sudėties Komisija nedalyvavo 2023 m. liepos 27 d. posėdyje, kuriame VVKT išsamiai pristatė siūlomų kompensuoti vaistinių preparatų lumakaftoro / ivakaftoro (Orkambi) ir ivakaftoro / tezakaftoro / eleksakaftoro su ivakaftoru

(Kaftrio su Kalydeco) vertinimą bei rekomendacijas, o VLK pateikė išsamų įtakos PSDF biudžetui vertinimą, 2024 m. sausio 18 d. posėdyje pasiūlyta šias paraiškas svarstyti atskirame Komisijos posėdyje, kuriame VVKT naujos sudėties Komisijai pristatytų savo vertinimus ir siūlymus, o VLK pateiktą atnaujintą PSDF biudžeto vertinimą atsižvelgiant į Derybų komisijoje pasiektus rezultatus.

Taip pat Komisijos pirmininkė pasiūlė atsižvelgti į Draugijos siūlymus ir kreiptis į gydytojus, gydančius CF sergančius pacientus, kad jie nurodytų kokias šių vaistinių preparatų skyrimo sąlyga būtų optimali ir koks būtų prognozuojamas pacientų skaičius, kuriems būtų skiriami aptariamai vaistai.

2024 m. sausio 18 d. posėdyje Komisijos narys E. Stropus atkreipė dėmesį, kad didžioji dalis pacientų bus gydoma ivakaftoru / tezakaftoru / eleksakaftoru su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco), gamintojo siūloma kaina (*konfidenciali informacija*). Atkreipė dėmesį į pasikeitusią Draugijos poziciją. Svarstant šį klausimą Labai retų ligų komisijoje, Draugija pritarė, kad gali būti nustatyti šių vaistų skyrimo kriterijai gydant pačius sunkiausias pacientus (kurių pirmaisiais metais būtų apie 12). Paskui, akivaizdu, pacientų daugėtų ir vaistus būtų galima kompensuoti įrašant juos į A sąrašą. Taip pat E. Stropus pasiūlė, kad jei būtų priimtas siūlymas įrašyti vaistinius preparatus į A sąrašą, kartu turi būti patvirtinta ir CF gydymo metodika (CF gydymo tvarkos aprašas) ir nustatyta galimybė turėti klinikinio efektyvumo sutartį.

Komisijos narys S. Abramavičius pabrėžė, kad gydytojų specialistų dalyvavimas Komisijos posėdžiuose yra būtinas.

Primenama, kad Komisija, 2024 m. sausio 18 d. posėdyje, nutarė 1) pavesti VLK įvertinti PSDF biudžeto išlaidas, kai vaistinis preparatas lumakaftoras / ivakaftoras (Orkambi) būtų skiriamas vaikams nuo 2 iki 5 metų, o vaistiniai preparatai ivakaftoras / tezakaftoras / eleksakaftoras su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) būtų skiriami 6 metų ir vyresniems pacientams; 2) į Komisijos posėdį, kuriame bus svarstomos aptariamų vaistinių preparatų kompensavimo galimybės, pakviesti gydytojus specialistus, gydančius CF sergančiuosius.

2024 m. kovo 28 d. Komisija tęsia klausimo svarstymą.

VVKT atstovai naujos sudėties Komisijai pristato informaciją ir rekomendacijas dėl vaistinių preparatų lumakaftoro / ivakaftoro (Orkambi) ir ivakaftoro / tezakaftoro / eleksakaftoro su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco).

VLK atstovai teikia pakartotinį įtakos PSDF biudžetui vertinimą, kai vaistinis preparatas lumakaftoras / ivakaftoras (Orkambi) būtų skiriamas vaikams nuo 2 iki 5 metų, o vaistiniai preparatai ivakaftoras / tezakaftoras / eleksakaftoras su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) būtų skiriami 6 metų ir vyresniems pacientams (PSDF biudžeto išlaidos vaistams buvo prognozuojamos pagal gamintojo Lietuvai taikomas konfidencialias vaistų kainas, t. y. šias konfidencialias vaistų kainas gamintojas pateikė Derybų komisijai).

VLK PSDF biudžeto išlaidas vaistiniam preparatui lumakaftorui / ivakaftorui (Orkambi), jei jis būtų skiriamas 2-5 metų amžiaus pacientams, prognozavo pagal gamintojo Lietuvai taikomas konfidencialias vaistinio preparato kainas, pateiktas Derybų komisijai (*konfidenciali informacija*). Jeigu vaistinis preparatas lumakaftoras / ivakaftoras (Orkambi) būtų skiriamas vaikams nuo 2 iki 5 metų, tai prognozuojamas pacientų skaičius būtų 4-5 pirmaisiais–penktaisiais kompensavimo metais, o PSDF biudžeto išlaidos jiems gydyti sudarytų ir atitinkamai didėtų virš 503 tūkst. Eur pirmaisiais kompensavimo metais ir apie 629 tūkst. Eur penktaisiais kompensavimo metais. Prognozuojama, kad vienam pacientui gydyti reikės (*konfidenciali informacija*) vaistinio preparato Orkambi (*konfidenciali informacija*) pirmaisiais–penktaisiais kompensavimo metais. PSDF biudžeto išlaidos vaistinio preparato Orkambi (*konfidenciali informacija*) pakuotėms nevertintos, nes jos gali būti skiriamos 6 metų ir vyresniems pacientams gydyti.

Vaistinis preparatas lumakaftoras / ivakaftoras (Orkambi) yra skiriamas pacientams, kuriems genetiniu tyrimu patvirtinama *F508del* mutacija abiejuose CFTR geno aleliuose. Šis genetinis tyrimas įtrauktas į Brangiųjų genetinių tyrimų sąrašą ir jo išlaidos apmokamos PSDF biudžeto lėšomis, vadovaujantis Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m.

balandžio 27 d. įsakymu Nr. V-304 „Dėl Brangiųjų tyrimų ir procedūrų išlaidų apmokėjimo tvarkos aprašo patvirtinimo“.

Jeigu būtų priimtas sprendimas kompensuoti vaistinį preparatą lumakaftorą / ivakaftorą (Orkambi) 2-5 metų amžiaus pacientams (*konfidenciali informacija*).

VLK PSDF biudžeto išlaidas vaistiniams preparatams ivakaftorui / tezakaftorui / eleksakaftorui su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco), jei jie būtų skiriami 6 metų amžiaus ir vyresniems pacientams, prognozavo pagal gamintojo Lietuvai taikomas konfidencialias vaistinio preparato kainas, pateiktas Derybų komisijai (*konfidenciali informacija*). Jeigu vaistiniai preparatai ivakaftoras / tezakaftoras / eleksakaftoras su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) būtų skiriami 6 metų ir vyresniems pacientams, tai prognozuojamas pacientų skaičius būtų 51-70 pirmaisiais–penktaisiais kompensavimo metais, o PSDF išlaidos išlaidos jiems gydyti sudarytų ir atitinkamai didėtų apie 8,9 mln. Eur. pirmaisiais kompensavimo metais ir apie 12,3 mln. Eur penktaisiais kompensavimo metais. Prognozuojama, kad vienam pacientui gydyti reikės (*konfidenciali informacija*) vaistinių preparatų Kaftrio (*konfidenciali informacija*) ir Kalydeco (*konfidenciali informacija*) pirmaisiais–penktaisiais metais.

Vaistinis preparatas ivakaftoras / tezakaftoras / eleksakaftoras su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) yra skiriamas pacientams, kuriems genetiniu tyrimu patvirtinama bent viena CFTR geno *F508del* mutacija. Šis genetinis tyrimas įtrauktas į Brangiųjų genolinių tyrimų sąrašą ir jo išlaidos apmokamos PSDF biudžeto lėšomis, vadovaujantis Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. balandžio 27 d. įsakymu Nr. V-304 „Dėl Brangiųjų tyrimų ir procedūrų išlaidų apmokėjimo tvarkos aprašo patvirtinimo“.

Jeigu būtų priimtas sprendimas kompensuoti vaistinį preparatą ivakaftorą / tezakaftorą / eleksakaftorą su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) 6 metų amžiaus ir vyresniems pacientams (*konfidenciali informacija*).

Komisijos pirmininkė priminė Komisijos nariams apie Komisijos sprendimo priėmimo teisinį reglamentavimą bei pristatė savo išvagas. Sveikatos apsaugos ministro sudarytos Komisijos paskirtis – teikti rekomendacijas dėl vaistinio preparato ar medicinos pagalbos priemonės kompensavimo tikslingumo, nagrinėti dokumentus ir paraiškas, bei teikti ministru siūlymus dėl vaistinių preparatų ar medicinos pagalbos priemonių įrašymo ar neįrašymo į Kompensuojamųjų vaistinių preparatų ar medicinos pagalbos priemonių sąrašus. Komisijos priminkė atkreipė dėmesį, kad VVKT, be vertinimo išvados ir rekomendacijos, Komisijai taip pat gali teikti papildomas pastabas ir pasiūlymus, susijusius su paraiškos vertinimu, o Tvarcos aprašo 30¹ punkte nurodytos rekomendacijos nėra įpareigojančios Komisiją. Komisija, gavusi vertinimo išvadą ir rekomendaciją dėl vaistinio preparato kompensavimo tikslingumo, vadovaudamasi Tvarco aprašo 54 punktu, įvertina vertinimo išvadoje pateiktą informaciją ir rekomendaciją, VVKT apskaičiuoto ligos, kuriai gydyti siūloma kompensuoti vaistinį preparatą, naštos dydžio atitiktį referencinei naudingumo vertei, pacientų ir sveikatos priežiūros specialistų organizacijų nuomonės dėl siūlomo kompensuoti vaistinio preparato, prognozuojamas vaistinio preparato kompensavimo iš PSDF biudžeto išlaidas ir galimus PSDF biudžeto išlaidų valdymo bei paciento priemokos mažinimo būdus ir priemones, ligos, kuriai siūloma kompensuoti vaistinį preparatą gydymo prienamumą, ligos pobūdį, pacientų pogrupį, kuriam bus skiriamas gydymas.

Toliau Komisijos pirmininkė pateikė vaistinių preparatų, skirtų cistinei fibrozei gydyti, kompensavimo galimos naudos ir rizikos vertinimą. Svarbu atkreipti dėmesį, kad šiuo metu Lietuvoje pacientams, sergantiems cistine fibroze, taikomas tik simptominis gydymas (pagal A sąrašą kompensuojama 12 veikliųjų medžiagų, t. y. antibiotikai, virškinimo fermentai), o gydymas vaistiniais preparatais ivakaftoru / tezakaftoru / eleksakaftoru su ivakaftoru (Kaftrio su Kalydeco) ir lumakaftoru / ivakaftoru (Orkambi) sukuria nemažai papildomų kokybiškų gyvenimo metų (*konfidenciali informacija*). Tačiau vaistinių preparatų kainos Lietuvai yra per didelės (*konfidenciali informacija*), prognozuojamas bendras PSDF biudžeto lėšų poreikis kompensuoti vaistinius preparatus cistinei fibrozei gydyti: pirmaisiais metais–55 pacientai–9,4 mln. Eur; penktaisiais metais–

75 pacientai–12,9 mln. Eur. Tai taptų iššūkiu Komisijos sprendimų nuoseklumui išlaikyti, jei būtų nuspręsta kompensuoti vaistinius preparatus, neatitinkančius referencinės kaštų naudingumo vertės.

Taip pat Komisijos pirmininkei kilo papildomų pastebėjimų bei klausimų dėl:

1) skyrimo sąlygos. VVKT pateiktai skyrimo sąlygai, kuri atitinka klinikinių tyrimų rezultatus, kompensuoti sunkiausiai sergantiems pacientams, prieštarauja Draugija. Jų siūlymu vaistiniai preparatai turi būti kompensuojami visiems pacientams, pagal s vaistinių preparatų registruotas indikacijas. Deja, Draugijos atstovai neturėjo galimybių dalyvauti šiame posėdyje, pasidalinti patirtimi, bei pateikti savo įžvalgas;

2) kainos mažinimo galimybės. Gamintojas nėra suinteresuotas mažinti kainą, nes tikisi, kad vaistai bus kompensuojami bet kokia kaina, ir tam taip pat įtakos turi ir Draugijų, Asociacijų, politikų bei pacientų atstovų didelis spaudimas šiuos vaistus kompensuoti, nepaisant to, kad gamintojas nemažina kainos.

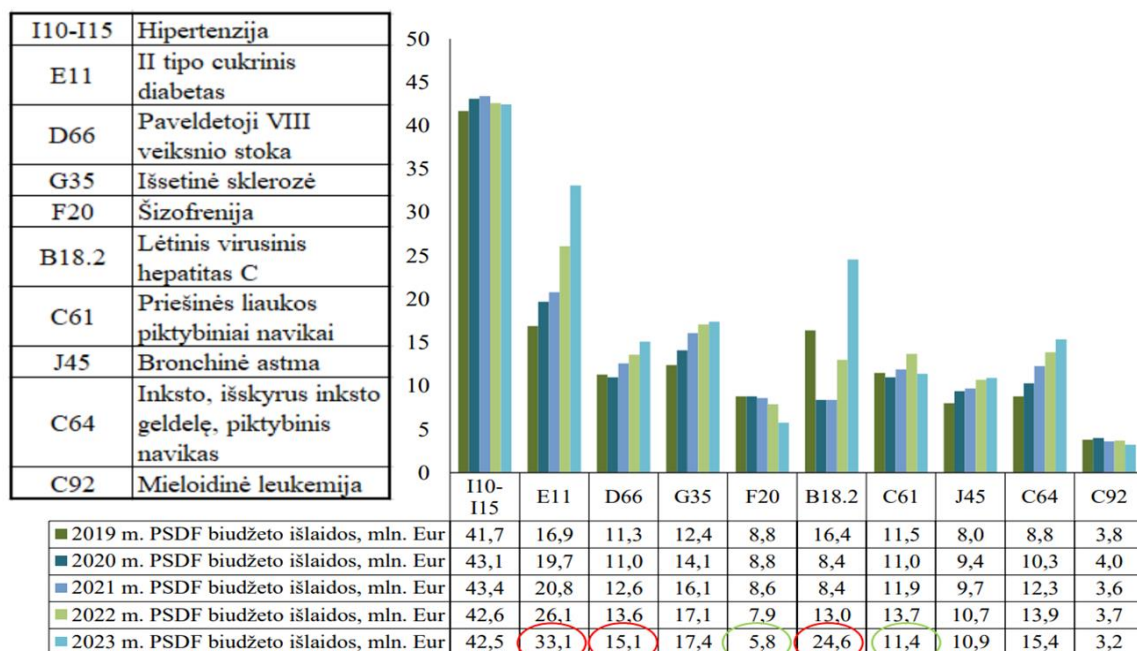
Komisijos pirmininkė priminė apie Komisijos sprendimų vientisumą, kuomet Komisijos sprendimai buvo siūlyti nekompensuoti vaistinius preparatus, kurių papildoma nauda pacientų sveikatai buvo įrodyta, tačiau vaistinių preparatų referencinė kaštų naudingumo vertė buvo viršyta.

Komisijos pirmininkė taip pat pateikė pavyzdžius, koks CF vaistams reikalingų lėšų poreikis vertinant bendrą PSDF biudžeto lėšų visiems kompensuojamiesiems vaistiniams preparatams kontekste.

2023 m. pabaigoje į Rezervinį vaistų sąrašą buvo įrašyti 8 nauji vaistai, kuriems 11 mėnesių laikotarpiui kompensuoti reikėjo 13,5 mln. Eur, vaistai skirti ženkliai didesniai pacientų skaičiui.

Taip pat reikalingas PSDF biudžeto lėšų poreikis CF gydyti penktaisiais kompensavimo metais siekia 2023 m. PSDF biudžeto lėšas, skirtas kompensuoti vaistus pacientams, sergantiems prostatos vėžiu ar astma, taip pat dalis lėšų (30 proc.), skirtų širdies ir kraujagyslių sistemos ligų gydymui, būtų išleista CF pacientams gydyti.

2019 – 2023 m. PSDF biudžeto išlaidos pagal ligas (mln. Eur)



Diskutuojama. Komisijos narys S. Abramavičius pastebėjo, kad labai svarbu atkreipti dėmesį į tai, kad vaistas, visų pirma, skirtas vaikų populiacijai, todėl ir Komisija, priimdama sprendimą, privalo į tai atsižvelgti.

Komisijos narė E. Žiginskienė paantrino S. Abramavičiui, bei pasiūlė, kad ateityje, jei reikėtų priimti panašius sprendimus, analogija atsižvelgti į populiaciją, kuriai skirtas vaistas, galėtų būti vienas iš veiksnių priimant sprendimą, kad būtų išvengta nepalankių reakcijų. Taip pat pasiūlė dar kartą pakviesti Draugiją ir gydytojus, gydančius CF sergančius pacientus, kad Komisija galėtų priimti sprendimą įvertinusi esamą situaciją išsamiai.

VVKT ekspertė atkreipė Komisijos dėmesį, kad jei Komisija siūlytų kompensuoti vaistus tik vaikų populiacijos pacientams, tai būtų atimta galimybė gydyti veiksmingais vaistais pacientus, sulaukusius pilnametystės ir būtų sukiršinti sergantieji bei visuomenė, todėl būtina rasti galimybę pradėti gydyti pacientus kuo anksčiau, kol plaučių funkcija nėra stipriai pažeista, suteikti galimybę šiems pacientams užaugti ir gyventi ilgiau. Taip pat svarbu suvokti, kad šių pacientų būklė ir plaučių funkcija blogės nepaisant veiksmingo gydymo, tačiau gydant pacientus prailgės gyvenimo laikas ir pagerės gyvenimo kokybė, nei yra šiuo metu.

Komisijos pirmininkė atkreipė dėmesį, kad labai svarbu žinoti galimą pacientų skaičių, jei vaistai būtų siūdomi kompensuoti pagal VVKT pasiūlytas skyrimo sąlygas, bei pacientų skaičių, jei vaistai būtų kompensuojami visiems CF sergantiems pacientams, kurie atitinka vaistinių preparatų registruotas indikacijas.

Komisija nutarė kreiptis į Draugiją ir CF sergančius pacientus gydančius gydytojus ir juos pakviesti į 2024 m. balandžio 11 d. Komisijos posėdį nurodant, kad Komisija posėdžio metu norės aptarti siūlomų kompensuoti vaistinių preparatų Orkambi ir Kaftrio su Kalydeco VVKT vertinimo išvadose bei rekomendacijose siūlomas vaistinių preparatų skyrimo sąlygas (nurodyti sąlygas) ir prašant posėdžio metu Komisijai pateikti informaciją apie galimą pacientų skaičių, jei vaistai būtų kompensuojami pagal siūlomas kompensuoti registruotas indikacijas ir kaip keistųsi pacientų skaičius, jei vaistai būtų kompensuojami taikant VVKT siūlomas skyrimo sąlygas.

Balsuojama. Siūlymui pritarė Komisijos nariai I. Greičiūtė-Kuprijanov, S. Abramavičius, A. Jablonskis, E. Kvedaraitė, E. Monstavičius, G. Zuožienė, E. Žiginskienė, G. Žižys.

NUTARTA: Komisija nutarė kreiptis į Draugiją ir CF sergančius pacientus gydančius gydytojus ir juos pakviesti į 2024 m. balandžio 11 d. Komisijos posėdį nurodant, kad Komisija posėdžio metu norės aptarti siūlomų kompensuoti vaistinių preparatų Orkambi ir Kaftrio su Kalydeco VVKT vertinimo išvadose bei rekomendacijose siūlomas vaistinių preparatų skyrimo sąlygas (nurodyti sąlygas) ir prašant posėdžio metu Komisijai pateikti informaciją apie galimą pacientų skaičių, jei vaistai būtų kompensuojami pagal siūlomas kompensuoti registruotas indikacijas ir kaip keistųsi pacientų skaičius, jei vaistai būtų kompensuojami taikant VVKT siūlomas skyrimo sąlygas.

Komisijos pirmininkė

Ieva Greičiūtė-Kuprijanov

Sekretorė

Dovilė Zacharkienė