

Valstybinės vaistų kontrolės tarnybos  
 prie Lietuvos Respublikos  
 sveikatos apsaugos ministerijos  
 viršininko 2019 m. liepos  
 įsakymo Nr.(1.4)1A–1128  
 5 priedas

<b>STANDARTIZUOTA FORMA SVEIKATOS PRIEŽIŪROS SPECIALISTŲ ORGANIZACIJŲ POZICIJAI PATEIKTI</b>	
Organizacijos pavadinimas	Vilniaus krašto alergologų ir klinikinių imunologų draugija
Organizacijos teisinė forma	asociacija
Formą užpildžiusio asmens kontaktai	Prof. Laura Malinauskienė, prezidentė tel. 861114673, laura.malinauskiene@santa.lt
Vaistinio preparato pavadinimas (sugalvotas pavadinimas ir farmacinė forma)	TAKHZYRO, injekcinis tirpalas
Indikacija (kokiai ligai ar būklei gydyti skirtas vaistas)	Ilgalaikė paveldimos angioedemos priepuolių profilaktika
Pareiškėjo pasiūlytas apribojimas	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Ilgalaikė profilaktika rekomenduojama pacientams, kuriems kartojasi gyvybei pavojingi AE priepuoliai (&gt;2 k./ m.) arba dažnos (&gt;1 k./mėn.) periferines AE.</li> <li>2. Preparatą gali skirti universitetinėse ligoninėse dirbantys gydytojai alergologai ir klinikiniai imunologai, turintys patirties gydant pacientus, sergančius paveldimąją angioedema.</li> </ol>
Klausimyno pateikimo data	2020-11-13
Ar rengiant šį atsakymą jums teikė pagalbą asmenys, kurie nepriklauso jūsų organizacijai? Prašome nurodyti visus asmenis, kurie padėjo parengti informaciją ir užpildyti šią formą.	
<i>Ne</i>	
Kokios šiuo metu yra prieinamos gydymo galimybės indikacijai, kuriai ketinamas skirti vaistinis preparatas (įskaitant ir nemedikamentines priemones)? Prašome pažymėti, koks yra dominuojantis gydymo pasirinkimas ir kokiam gydymui yra teikiama pirmenybė? Paaiškinkite kodėl.	

*Ilgalaikė priepuolių profilaktika galima skiriant C1 esterazės inhibitoriaus koncentratą 3-4 kartus per savaitę leidžiant į veną. Paskyrimą riboja vaisto forma (injekcijos į veną) ir reikalavimas pagal Labai retoms būklėms gydyti skirtų vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių sąrašė nurodytas vaistų skyrimo sąlygas, kad paciento sveikatos dokumentuose turi būti įrašas apie panaudotą vaisto kiekį ir laiką.*

*Antras pasirinkimas būtų androgeniniai steroidai (danazolis) arba traneksamo rūgštis. Jie nėra rekomenduojami tarptautiniuose ekspertų sutarimuose (pvz., Maurer M, The international WAO/EAACI guideline for the management of hereditary angioedema-The 2017 revision and update.*

*Allergy. 2018 Aug;73(8):1575-1596.) naudojimui ilgalaikiai profilaktikai dėl gausių nepageidaujamų poveikių (ypač moterims ir dėl kepenų pažeidimo). Be to, danazolis ir traneksaminė rūgštis nėra kompensuojamas ir gali būti įvežami tik kaip vardiniai preparatai.*

Ar šiuo metu galioja kokios nors gydymo gairės ar yra rengiamos naujos, kuriose jau yra ar bus minimas analizuojamas vaistinis preparatas, ir kurios gali daryti įtaką analizuojamo vaisto skyrimo sąlygai? Jei galite, pateikite nuorodas į vertinamąjį vaistiniu preparatu gydomos ligos gydymo gaires

*Šiuo metu vadovaujamės tarptautinėmis pasaulio alergijos organizacijos ir Europos alergologų ir klinikinių imunologų akademijos 2018 m. paskelbtomis rekomendacijomis (pvz., Maurer M, The international WAO/EAACI guideline for the management of hereditary angioedema-The 2017 revision and update. Allergy. 2018 Aug;73(8):1575-1596.)*

*Lietuvos alergologų ir klinikinių imunologų draugija ruošia Paveldimos angioedemos diagnostikos ir gydymo rekomendacijas (numatoma išleisti 2021 m. pirmame ketvirtyje), kur lanadelumabas yra tarp pirmo pasirinkimo preparatų paveldimos angioedemos priepuolių ilgalaikiai profilaktikai.*

*Pagal VUL Santaros klinikose patvirtintą Gydymo protokolą GP 198 — 2020 „C1 esterazės inhibitoriaus stokos sukeltos angioedemos diagnostika ir gydymas“ pirmo pasirinkimo preparatai ilgalaikiai profilaktikai — C 1 INH koncentratas arba biologinė terapija (lanadelumabas).*

Jei šis vaistinis preparatas bus kompensuojamas, kokius kitus (ar kitą) vaistinius (-į) preparatus (-ą) jis pakeis, jei bus skiriamas pagal siūlomą indikaciją ir pasiūlytą apribojimą?

*Pakeis danazolį ir traneksamo rūgštį, C1 esterazės inhibitoriaus koncentrato nuolatinį skyrimą į veną.*

Ar VVKT vertinamas vaistinis preparatas nurodytai indikacijai gali būti vertinamas kaip pranašesnis nei jau dabar skiriamas gydymas? Jei taip, kodėl?

*Takhyro bus pranašesnis dėl:*

1. *Klinikiniuose tyrimuose Takzhyro sumažino priepuolių dažnį 83-95 proc., tuo tarpu C1 esterazės inhibitoriaus koncentratas priepuolių dažnį sumažina apie 50 proc.*
2. *Patogi forma pacientui susileidžiant pačiam, be to injekcijos retesnės (kas 2 sav. arba kas 4 sav.). Geresnė gyvenimo kokybė.*
3. *Neapkraunama sveikatos priežiūros sistema, taupomas laikas ir resursai.*
4. *Mažesnė injekcijos komplikacijų rizika (Takzhyro leidžiamas po oda kas 2 sav. arba kas 4 sav. C1 inhibitoriaus koncentratas kas 3-4 dienas į veną).*

Prašome apibūdinti, kaip siūlomas vaistinis preparatas būtų vartojamas klinikinėje, kasdienėje praktikoje (pavyzdžiui, apibūdinkite vieną ar kelias (kiek galite) kliniškes situacijas, kuriose skirti analizuojamą vaistą būtų labai tikslinga ar labiau naudinga nei dabar skiriamą gydymą).

1. *Pacientas/ė yra aktyvus, dirbantis, o priepuoliai dažni, nenuspėjamai pasireiškiantys ir jų gydymas užima pakankamai daug laiko, ypač jeigu reikia vykti į gydymo įstaigą injekcijai. Prarandamas darbingumas, ekonominis našumas, darbingas laikas.*
2. *Pacientas/ė gyvena toli nuo gydymo įstaigos, vykimasis į gydymo įstaigą užima daug laiko, edema plinta, vėliau suleidžiami vaistai, ilgesnis laikas iki simptomų rezoliucijos.*
3. *Vystosi gerklų edema, kuri yra pagrindinė sergančių paveldima angioedema mirties priežastis. Laikas svarbus, kad angioedema neprogresuotų. Kuo vėliau suteikiama pagalba, tuo didesnė blogų išiečių rizika, simptomų atslūgimo laikas ilgėja.*
4. *Pacientui/ei kartojasi dažnos rankos edemos ar pilvo skausmai – jis negali normaliai eiti į darbą, atlikti darbo. Angioedemos simptomai gali atslūgti po 2-5 d., tam laikui išduodamas nedarbingumo lapelis. Bloga paciento gyvenimo kokybė, kenčia jo ir aplinkinių gyvenimas, naudojamos valstybės lėšos.*

Ar yra papildomos informacijos kuri gali būti svarbi šio vaisto vartojimui Lietuvoje (pavyzdžiui, gal šio vaisto saugumui ar/ir efektyvumui stebėti reikia specifinių tyrimų, kurie nėra plačiai atliekami Lietuvoje ar kita) ir į ką derėtų atkreipti dėmesį?

*nėra*

Paaiškinkite, kaip vertinamas vaistas padėtų pagerinti pacientų, kurie iki šiol negavo pakankamo, efektyvaus gydymo, būklę.

*Suretintų angioedemos priepuolius ir tuo pačiu sumažintų pavojingiausios, gerklų edemos, riziką, pagerintų pacientų gyvenimo kokybę ir ekonominį našumą, nes dauguma šia liga sergančių žmonių yra jauni, darbingo amžiaus.*

Ligos paplitimas: jei žinote, prašome pateikti skaičių pacientų, kuriems Lietuvoje galėtų būti skiriamas gydymas nagrinėjamu vaistu.

<i>Lietuvoje yra apie 30 pacientų</i>
Kokios klinikinių tyrimų baigtys yra svarbios vertinant šio vaisto efektyvumą? Kodėl?
<ol style="list-style-type: none"> <li>1. <i>Priepuolių dažnio sumažėjimas</i></li> <li>2. <i>Priepuolių sunkumo sumažėjimas</i></li> <li>3. <i>Saugumas</i></li> <li>4. <i>Gyvenimo kokybės pokyčiai</i></li> </ol>
Pažymėkite, ar yra galimas interesų konfliktas, susijęs su vaistu, kuris yra analizuojamas, ar su kitais vaistiniais preparatais, kuriuos šis vaistinis preparatas galėtų pakeisti.
<i>ne</i>
Kita papildoma informacija, kuri gali yra svarbi vaistinio preparato paraiškai vertinti.
<i>ne</i>
Ar sutinkate, kad ši forma būtų įtraukta į galutinį vaistinio preparato vertinimo protokolą?
Taip X Ne <input type="checkbox"/>
Ar sutinkate, kad esant neaiškumų, su jumis papildomai susisiektų VVKT specialistai?
Taip X Ne <input type="checkbox"/>
Priedai: Organizacijos finansinės ir veiklos ataskaitos
Kiti priedai