

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

| <b>STANDARTIZUOTA FORMA PACIENTŲ ORGANIZACIJŲ POZICIJAI PATEIKTI</b>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            |                                                                                                                                                                                                                 |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Organizacijos pavadinimas                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       | Išsėtinės sklerozės draugija „Feniksai“                                                                                                                                                                         |
| Organizacijos teisinė forma                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | Asociacija <input checked="" type="checkbox"/> Labdaros ir paramos fondas <input type="checkbox"/>                                                                                                              |
| Formą užpildžiusio asmens kontaktai                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             | Ana Staševičienė, tel.: 865527700; el.p: ana@feniksai.lt                                                                                                                                                        |
| Vaistinio preparato pavadinimas (sugalvotas pavadinimas ir farmacinė forma)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | Kesimpta 20 mg (Ofatumumabas) injekcinis tirpalas užpildytame švirkšte<br>Kesimpta 20 mg (Ofatumumabas) injekcinis tirpalas užpildytame švirkštiklyje                                                           |
| Indikacija (kokiai ligai ar būklei gydyti skirtas vaistas)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      | Kesimpta (Ofatumumabas) skirtas recidyvuojančiomis išsėtinės sklerozės (RIS) formomis sergantiems suaugusiems pacientams gydyti, kai remiantis klinikiniais ar vaizdinių tyrimų požymiais nustatyta aktyvi liga |
| Klausimyno pateikimo data                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       | 2021 m. liepos 15 d.                                                                                                                                                                                            |
| Pateiktos informacijos santrauka (iki 300 žodžių)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |                                                                                                                                                                                                                 |
| Ar ši rengiant šį atsakymą jums teikė pagalbą asmenys, kurie nepriklauso jūsų pacientų organizacijai? Prašome nurodyti visus asmenis, kurie padėjo parengti informaciją ir užpildyti šią formą                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |                                                                                                                                                                                                                 |
| Ne, mūsų pacientų organizacijai nepriklausantys asmenys pagalbos neteikė                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |                                                                                                                                                                                                                 |
| Prašome aprašyti, kaip surinkote informaciją iš pacientų ir/ar jais besirūpinančių asmenų apie jų patirtis sergant liga, kurios gydymui galėtų būti taikomas šis vaistinis preparatas.                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                          |                                                                                                                                                                                                                 |
| Draugijos nariai buvo apklausomi telefonu bei susitikimų metu (kelis kartus per savaitę vyksta nuotoliniai užsiėmimai). Buvo kalbinami asmenys, kurių liga yra aktyvi ir kuriems šiuo metu taikomas gydymas yra mažai efektyvus (tiek subjektyvi pacientų nuomonė, tiek jų žodžiais perteikta gydytojų informacija dėl galimo poreikio keisti vaistus). Taip pat buvo bendraudama su asmeniu, kuris kelis metus vartoja Kesimpta (Ofatumumabas)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                 |                                                                                                                                                                                                                 |
| Ar ši būklė daro įtaką gyvenimo kokybei (kasdienei veiklai)?                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |                                                                                                                                                                                                                 |
| <p>Be abejonės daro įtaką gyvenimo kokybei. Žemiau pateikiu trumpą gyvenimo kokybės aprašymą iš 2019 m. atlikto Lietuvoje sergančiųjų išsėtine skleroze asmenų gyvenimo kokybės tyrimo. Dauguma tyrimo dalyvių buvo Draugijos nariai. Tyrimo autorė Ana Staševičienė.</p> <p>Ligos pradžioje po sėkmingo gydymo ir reabilitacijos dažnai sutrikusios funkcijos atsistato, dėl medikamentinio gydymo ir gydytojo priežiūros žmogus gyvena beveik normaliai, jo gyvenimas nedaug skiriasi nuo kitų. Nors baimės ir nerimo dar lieka, pacientas vis dažniau pamiršta apie ligą. Tačiau ištikus antram ligos pablogėjimui, jis turi pakartotinai išgyventi psichologinę krizę. Šiuo etapu daugiausia kliūčių sergantiems ir jų artimiesiems kelia psichologinės problemos, nenusipėjama liga, nerimas ir baimė dėl ateities. Dažnai nukenčia santykiai šeimoje ir darbe, todėl šiuo etapu labai svarbus kvalifikuotų psichikos sveikatos specialistų bei pacientų organizacijų vaidmuo. Sėkmingas sergančiųjų adaptavimas susigyventi su liga itin pagerintų gydymo efektyvumą bei padėtų pacientams išlikti savarankiškiems. Ligai progresuojant paūmėjimo metu sutrikusios funkcijos vis rečiau atsistato iki galo, todėl atsiranda vis daugiau psichosocialinių poreikių. Labiausiai išryškėja traumuojančio įvykio pasikartojimo baimė, gėda ir kaltė dėl savo silpnumo, pyktis ant sveikų, nenukentėjusių žmonių, agresyvumas (baimė nesukontroliuoti savo impulsų, gėda dėl jų), perdėtas</p> |                                                                                                                                                                                                                 |

liūdesys. Liga gali pasireikšti daugeliu simptomų (jutimo, regos, koordinacijos, kognityviniais sutrikimais, sumažėjusia raumenų jėga ar skausmu), kurie ligos pradžioje gali keistis pagal paūmėjimus ar remisijas, o ilgainiui pereiti į nuolat progresuojančią negalią. Ligai progresuojant atsiranda įvairių funkcinų sutrikimų. Pastebėta, kad ilgiau sergantys IS patiria mažiau psichologinių su liga susijusių krizių nei neseniai susirgę. Dauguma geriau ar blogiau prisitaiko prie ligos, tačiau IS progresuojant sutrinka daugelis organizmo funkcijų, taip pat ir kognityvinės, dėl to sunkiau vertinti depresiškumą. IS progresuojant ir sutrinkant motorinėms, sensorinėms, kognityvinėms, kai kuriais atvejais – rijimo, šlapinimosi bei tuštinimosi funkcijomis, sergančiųjų savarankiškumas mažėja ir jiems dažnai prireikia kitų žmonių pagalbos. Ilgai sergant IS bei ligai progresuojant prireikia ne tik sveikatos priežiūros, bet ir socialinės pagalbos: techninės pagalbos priemonių, slaugos ir pan.

Aprašykite, kaip šiuo metu Lietuvoje prieinami vaistai padeda pacientams valdyti jų būklę ir/ar ligą. Paminėkite, kokie vaistiniai preparatai šiuo metu vartojami pacientų, turinčių šią būklę ir/ar ligą, bei jų efektyvumą suvaldant būklės ir/ar ligos pasekmes.

Per pastaruosius du dešimtmečius pasaulyje daug dėmesio skiriama IS etiologijai bei gydymui nustatyti. Pirmieji ligą leidžiantys kontroliuoti vaistai pasaulyje atsirado 1993 metais, dabar jų jau yra daugiau nei 14. Interferonas (IFN)  $\beta$ -1a, INF $\beta$ -1b, INF $\beta$ -1a, glatiramero acetatas (GA), natalizumabas, fingolimodas, dimetilfumaratas (DMF), teriflunomidas, alemtuzumabas, daklizumabas ir okrelizumabas ir kt. yra patvirtinti daugelyje šalių. Okrelizumabas yra kol kas vienintelis preparatas, skirtas pirminei progresuojančiai išsėtinei sklerozei gydyti. Nors kasmet atsiranda vis naujesnių metodų, ligos pagydyti iki šiol nepavyksta. Vaistai leidžia kontroliuoti ligos eigą ir lėtinti negalios progresavimą. Nepaisant to, neaišku, kokią ilgalaikį poveikį turės šių vaistų vartojimas. Dėl šalutinio jų poveikio gali atsirasti kitų ligų. Dėl IS simptomų įvairovės pacientams, vartojantiems ligą modifikuojančius vaistus (LMV), neretai tampa sudėtinga atskirti kitų ligų simptomus. Kitas svarbus momentas – labai svarbu vaistus su gydytojo priežiūra gauti ligos pradžioje. Tačiau pastebėta, kad nemažai sergančiųjų, ypač ligos pradžioje vengia, delsia ir (arba) atsisako gydymo. Taip atsitinka dėl įvairių priežasčių. Pirmiausia – psichologinė krizė ir nepriėmimas ligos. Pacientas netiki, kad serga. Kitu atveju bijoma šalutinio poveikio bei tikima, kad ligą galima įveikti netradicinėmis gydymo priemonėmis. Analizuojant mokslinę literatūrą pastebėta, kad daugelis mokslininkų pabrėžia psichologinės traumos išgyvenamumą susidūrus su liga ir varginančius psichosomatinius sutrikimus. Paskiriami LMV, kurie ligos neišgydo, bet mažina paūmėjimų skaičių ir lėtina progresavimą, gali dar labiau trikdyti asmens biosocialines funkcijas ir galimybę gyventi įprastą gyvenimą. Šiuo metu labai svarbu gydytojui ir pacientui bendradarbiauti, tai lemia reguliarių vaistų vartojimą ir paciento adaptavimąsi prie ligos nulemtų gyvenimo kokybės pokyčių.

Ar atsakant į prieš tai buvusį klausimą buvo konsultuojamasi su pacientais, vartojančiais tuos vaistinius preparatus?

Taip  Ne

Koks yra šiuo metu prieinamas ne farmakologinis (t.y. ne vaistinis) gydymas šia liga ir/ar būkle sergantiems asmenims?

Šiuo metu, pacientams, sergantiems itin agresyvia recidivuojančia išsėtine sklerozės forma, yra prieinamas ne farmakologinis gydymas – kaulų čiulpų transplantacija. Toks gydymas yra efektyvus, tačiau yra rizikingas. Efektyvumas priklauso nuo ligos eigos bei aktyvumo.

Ar šis naujas vaistinis preparatas pagerins pacientų gyvenimo kokybę? Jeigu taip, kokių būdu?

Šiuo metu Lietuvoje gyvenantiems pacientams, sergantiems išsėtine skleroze, yra prieinamas gydymas, leidžiantis kontroliuoti ligos eigą, tačiau kai yra įvairių vaistų pasirinkimas, pacientai jaučiasi ramiau, nes žino, kad jei paskirtas preparatas netiks, yra alternatyva ir gydantis gydytojas parinks labiausiai pacientui tinkantį preparatą. Kai kurie preparatai netinka dėl sukeltų šalutinių poveikių ir (arba) neefektyvumo. Šiuo atveju, pacientas vartojantis Ofatumumą jaučiasi gerai bei

|                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <p>saugiai. Gyvenimo kokybė gera, nors prieš tai vartojami vaistai nesuteikė tokios savijautos, kuri būtų artima sveiko žmogaus gyvenimo kokybei.</p>                                                                                                                                                                                                                                                            |
| <p>Ar šis naujas vaistinis preparatas palengvins jais besirūpinančių asmenų padėtį bei gyvenimo kokybę, kasdienybę? Jeigu taip, koku būdu?</p>                                                                                                                                                                                                                                                                   |
| <p>Išsėtinė sklerozė – liga kuria serga ne tik žmogus, kuriam ji yra diagnozuota, bet ir jo artimieji. Kuo geriau ir efektyviau liga yra kontroliuojama, tuo labiau pacientas yra savarankiškas ir gyvena normalų gyvenimą. Atitinkamai ir visa šeima bei paciento artimieji pamiršta apie šalia esančio žmogaus ligą. Kitaip sakant vieno paciento gyvenimo kokybė tiesiogiai daro įtaką visai šeimai.</p>      |
| <p>Kokie yra galimi gydymo naujuoju vaistiniu preparatu trūkumai, lyginant su dabar prieinamu gydymu?</p>                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
| <p>Kol kas yra sunku atsakyti į šį klausimą. Tačiau, pagal vaisto aprašymą yra galimos nepageidaujamos įvairios reakcijos. Šios reakcijos yra panašios su kitų ligų modifikuojančių preparatų sukeliomomis šalutinėmis reakcijomis. Pagal pacientų pasisakymus, leidžiantis vaistus labiausiai kelia nerimą nepageidaujamos reakcijos. Iš kitos pusės vaisto nauda yra kur kas didesnė už šiuos nemalonumus.</p> |
| <p>Kokie yra galimi gydymo naujuoju vaistiniu preparatu privalumai, lyginant su dabar prieinamu gydymu?</p>                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
| <p>Kol kas yra sunku atsakyti į šį klausimą. Dar mažai pacientų (tarp Draugijos narių) vartoja šį preparatą, tačiau kai kurie laukia šio preparato, nes prieš tai vartojami netinka. Tokiems pacientams šis preparatas yra paskutinė viltis.</p>                                                                                                                                                                 |
| <p>Norint įvertinti vaistinio preparato naudą pacientams, vadovaujamasi tam tikrai, nuo ligos priklausančiais, rodikliais (pvz., astmos gydyme svarbus paūmėjimų ir hospitalizacijų skaičius). Kaip manote, kokie sveikatos rodikliai yra svarbūs šia liga/būkle sergantiems asmenims (pavyzdžiui, tam tikri laboratoriniai rodikliai, gyvenimo kokybės pokytis, išgyvenamumas, ir panašiai).</p>                |
| <p>Gyvenimo kokybės pokytis, ligos recidyvų dažnis, ligos progresavimo greitis.</p>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
| <p>Kita papildoma informacija, kuri gali būti naudinga vaistinio preparato paraiškai vertinti.</p>                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |
| <p>Ar sutinkate, kad ši forma būtų įtraukta į galutinį vaistinio preparato vertinimo protokolą?</p>                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
| <p>Taip <input checked="" type="checkbox"/> Ne <input type="checkbox"/></p>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
| <p>Priedai: Organizacijos finansinės ir veiklos ataskaitos<br/>Kiti priedai</p>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |