

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	Lietuvos hematologų draugija
Organizacijos teisinė forma	Asociacija
Formą užpildžiusio asmens kontaktai	
Vaistinio preparato pavadinimas (sugalvotas pavadinimas ir farmacinė forma)	<i>Iksazomibas</i> derinyje su lenalidomidu ir deksametazonu
Indikacija (kokiai ligai ar būklei gydyti skirtas vaistas)	Iksazomibo derinys su lenalidomidu ir deksametazonu (IRD) skiriamas gydyti daugine mieloma sergančius suaugusius pacientus, kuriems jau buvo skirtas bent vienas ankstesnis gydymo kursas.
Pareiškėjo pasiūlytas apribojimas	
Klausimyno pateikimo data	2021-07-14
Ar rengiant šį atsakymą jums teikė pagalbą asmenys, kurie nepriklauso jūsų organizacijai? Prašome nurodyti visus asmenis, kurie padėjo parengti informaciją ir užpildyti šią formą.	
Ne	
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.	
Lietuvoje mieloma sergančių suaugusiųjų pacientų, kuriems jau buvo skirtas bent vienas ankstesnis gydymo kursas, gydymui kompensuojami naujos kartos vaistai bortezomibas, lenalidomidas, karfilzomibas, taip pat genotoksinė chemoterapija (ciklofosfamidai), deksametazonas bei šių vaistų deriniai. Pirmo pasirinkimo gydymo schema dėl palankiausio efektyvumo ir saugumo balanso yra karfilzomibas, lenalidomidas ir deksametazonas (KRD). Daliai pacientų, kurie negali toleruoti gydymo KRD (dažniausiai dėl kardiovaskulinės patologijos), skiriamas alternatyvus gydymas, pvz. bortezomibo su deksametazonu pagrindu (šių vaistų skyrimą didelei daliai pacientų riboja jatrogeninės etiologijos polineuropatijos po I-os eilės gydymo) ar lenalidomido ir deksametazono derinys (mažiau efektyvus gydymas, sukelia citopenijas).	
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 vertinamuju vaistiniu preparatu gydomos ligos gydymo gaires	
Lietuvoje institucijų aprobuotų mielominės ligos gydymo gairių nėra. Šiuo metu aktualiausias yra 2021 m. publikuotos Europos hematologų asociacijos ir Europos medicininės onkologijos draugijų (EHA-ESMO) klinikinės praktikos gairės: <a href="https://www.annalsofoncology.org/article/S0923-7534(20)43169-2/fulltext">https://www.annalsofoncology.org/article/S0923-7534(20)43169-2/fulltext</a> . Šių gairių tiesioginis pritaikymas Lietuvos klinikinėje praktikoje yra labai apribotas dėl neadekvataus vaistų prieinamumo.	
Jei šis vaistinis preparatas bus kompensuojamas, kokius kitus (ar kitą) vaistinius (-i) preparatus (-ą) jis pakeis, jei bus skiriamas pagal siūlomą indikaciją ir pasiūlytą apribojimą?	
Vaistas ixazomib kartu su lenalidomidu ir deksametazonu (IRD) dažniausiai būtų skiriamas vietoje KRD schemos, kai pacientai negali toleruoti karfilzomibo ar kai yra ribotas mobilumas ir dėl to pacientas negali atvykti karfilzomibo infuzijai. Svarbūs iksazomibo privalumai: peroralinis	

skyrimo būdas (galima vartoti namuose), nesukelia polineuropatijų (polineuropatijų dažnis nesiskyrė tarp placebo ir iksazomibo grupių Tourmaline MM-1 tyrime), gerai toleruojamas gretutines kardiovaskulinės sisteminės ligas turinčių pacientų.
Ar VVKT vertinamas vaistinis preparatas nurodytai indikacijai gali būti vertinamas kaip pranašesnis nei jau dabar skiriamas gydymas? Jei taip, kodėl?
Tiesioginio palyginimo tarp KRD ir IRD nėra atlikta. Iksazomibas/IRD gali būti naudingas esant ribotam paciento mobilumui dėl socialinių ar medicininių priežasčių (dalis pacientų negali atvykti į gydymo įstaigą, dėl to būna gydomi suboptimaliai). Klinikiniuose tyrimuose ir klinikinėje praktikoje nenustatyta ženklensio iksazomibo kardiotoksiškumo, tai svarbus faktorius, nes dalis pacientų negali toleruoti gydymo karfilzomibu (KRD) dėl kardiotoksiškumo. Tokiems pacientams IRD būtų efektyviausia iš šiuo metu Lietuvoje kompensuojamų gydymo schemų. Iksazomibo derinys su lenalidomidu ir deksametazonu (IRD) yra efektyvesnis už lenalidomido ir deksametazono derinį (išgyvenamumo be progresijos mediana 20,6 vs 14,7 mėn. Tourmaline MM-1 tyrimas). Gydymas iksazomibu nesukelia polineuropatijų, tai svarbu, nes pirmoje gydymo eilėje Lietuvoje pacientams dažniausiai skiriami bortezomibo ir talidomido deriniai sukeliantys polineuropatijas, kas riboje bortezomibo ir talidomido panaudojimą vėlesnėse gydymo eilėse.
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 Ribotas paciento mobilumas, kai pacientas negali atvykti 2 dienas per savaitę (6 kartus per mėnesį) į tretinio lygio gydymo įstaigą. Šiuo atveju gali būti skiriamas iksazomibas lenalidomidas ir deksametazonas arba lenalidomidas ir deksametazonas. Klinikiniai tyrimai rodo didesnę iksazomibo lenalidomido ir deksametazono kombinacijos efektyvumą. 2 Pacientas su išreikšta kardiovaskuline patologija (širdies nepakankamumas, sunkiai kontroliuojama hipertenzija) tikėtina karfilzomibo tolerancija būtų bloga, šiuo atveju pirmasis pasirinkimas būtų iksazomibas lenalidomidas ir deksametazonas.
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?
Ne
Paaškindite, kaip vertinamas vaistas padėtų pagerinti pacientų, kurie iki šiol negavo pakankamo, efektyvaus gydymo, būklę.
Taikant IRD gydymo schemą galima būtų pasiekti geresnę ligos kontrolę pacientams, kuriems dėl medicininių ar socialinių priežasčių negali būti skiriamas KRD gydymas.
Ligos paplitimas: jei žinote, prašome pateikti skaičių pacientų, kuriems Lietuvoje galėtų būti skiriamas gydymas nagrinėjamu vaistu.
Tikslus skaičius nėra žinomas, vertintume, kad apie 20% procentų po I-os eilės gydymo galėtų būti gydomi IRD deriniu, didžioji dalis šių pacientų šiuo metu gydomi jiems suboptimaliu KRD deriniu.
Kokios klinikinių tyrimų baigtys yra svarbios vertinant šio vaisto efektyvumą? Kodėl?
Išgyvenamumo be ligos progresijos, bendro išgyvenamumo rodikliai, gyvenimo kokybės rodikliai kaip svarbiausios kliniškes išeitys. Svarbu ir specifinių šalutinių reakcijų pasireiškes dažnis kaip polineuropatijos ir su kardiovaskulinės sistemos sutrikimu, nes būtent šios šalutinės reakcijos blogina pacientų gydymo galimybes šiuo metu Lietuvoje kompensuojamais preparatais.
Pažymėkite, ar yra galimas interesų konfliktas, susijęs su vaistu, kuris yra analizuojamas, ar su kitais vaistiniais preparatais, kuriuos šis vaistinis preparatas galėtų pakeisti.
Ne
Kita papildoma informacija, kuri gali yra svarbi vaistinio preparato paraiškai vertinti.
Nėra

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