



VALSTYBINĖ VAISTŲ KONTROLĖS TARNYBA
PRIE LIETUVOS RESPUBLIKOS
SVEIKATOS APSAUGOS MINISTERIJOS

Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministerijos
Ligų, vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos
priemonių kompensavimo komisijai

2019-03-28

Nr. (118) 97-318

Kopija:
Central Pharma Communications UAB
J. Savickio 4-1, LT-01108, Vilnius
Indre@centralpharma.lt

I 2019-02-18 Nr.

**DĖL VAISTINIO PREPARATO OCTOSTIM (DESMOPRESINAS) TERAPINĖS
VERTĖS PERVERTINIMO**

Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos (toliau – Tarnyba) išnagrinėjo Central Pharma Communications UAB (toliau – Pareiškėjas) pateiktą raštą dėl vaistinio preparato *Octostim (desmopresinas)* terapinės vertės, kuriame Pareiškėjas nesutinka su nustatyta terapine verte.

Tarnyba primena, kad desmopresinas yra natūralaus žmogaus hormono arginino vazopresino struktūrinis analogas. Natūralaus hormono cheminė struktūra desmopresino molekulėje pakeista dviejose vietose, dezamininant cisteiną ir pakeičiant L-argininą D-argininu. Desmopresinas, leidžiamas didelėmis dozėmis į veną arba po oda, 2-4 kartus padidina kraujo plazmos VIII krešėjimo faktoriaus koaguliacinį aktyvumą (VIII:C). Desmopresinas taip pat padidina von Willebrando faktoriaus-antigeno koncentraciją (vWF Ag), tačiau kiek mažiau. Jis taip pat atpalaiduoja audinių plazminogeno aktyvintoją (t-PA). Vaistinio preparato naujoviškumas įvertintas 4 balais (nauja veiklioji medžiaga su nauju veikimo mechanizmu konkrečiai ligai gydyti, kuriai gydyti vartojami vaistiniai preparatai jau kompensuojami).

Pirminio vertinimo metu, Pareiškėjas siūlė šį vaistinį preparatą kompensuoti VIII veiksnio stoka (su funkcijos sutrikimu) – hemofilija A, von Willebrando (von Willebrand) liga (TLK-10-AM D66 ir D68.0). Pareiškėjas pateikė perspektyvinį klinikinį tyrimą (Castaman ir kt., 2008), kur buvo vertintas desmopresino poveikis pacientams, sergantiems I tipo Willebrando liga. Tyrime visiškai atsakas stebėtas 64 (83 proc.), dalinis 10 (13 proc.) ir jokio atsako 3 (4 proc.) iš 77 pacientų. Pateiktas tyrimas neįrodo desmopresino efektyvumo, skiriant jį hemofilijos A arba von Willebrando ligos gydymui. Pagal pateiktą tyrimą desmopresino terapinės naudos įvertinti negalima.

Antrinio vertinimo metu Pareiškėjas kreipėsi į Tarnybą dėl terapinės vertės pervertinimo ir pateikė šiuos priedus:

1. Lietuvos Willebrand ligos (VWL) diagnostikos ir gydymo gairės.
2. Lietuvos hematologų draugijos parengtas Hemofilijos diagnostikos ir gydymo gairės.
3. Tarptautinių gairių santraukas:
 - a) Jungtinės Karalystės Hemofilijos centro gydytojų organizacijos gairės;
 - b) Amerikos hematologų draugijos 2012 m. pateiktos Willebrand ligos diagnostikos ir gydymo klinikinės praktikos gairės;
 - c) Pasaulio hemofilijos federacijos hemofilijos gydymo gairės.

4. Vaistinio preparato Žmogaus Willebrando faktorius + Žmogaus VIII koaguliacijos faktorius (Wilate) charakteristikų santrauką.
5. Apžvalginį straipsnį Leissing C et al. Desmopressin (DDAVP) in the management of patients with congenital bleeding disorders. *Haemophilia* (2014), 20, 158-167.
6. Apžvalginį straipsnį Svensson PJ et al. Desmopressin in the treatment of haematological disorders and in prevention of surgical bleeding. *Blood Reviews* (2014), 28, 95-102.

Pateikti šaltiniai nėra tinkami terapinės naudos pervertinimui. Terapinei naudai tinkama informacija būtų klinikiniai tyrimai, publikuoti recenzuojamuose žurnaluose. Remiantis pirminio bei antrinio vertinimų metu pateikta medžiaga, Tarnyba nusprendė, kad vaistinio preparato terapinė vertė išlieka nenustatyta.

Viršininkas



Gintautas Barcys