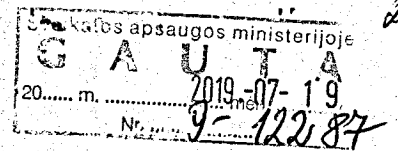




**VALSTYBINĖ VAISTŲ KONTROLĖS TARNYBA
PRIE LIETUVOS RESPUBLIKOS
SVEIKATOS APSAUGOS MINISTERIJOS**



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

2019-07-19

Nr. (IAS) AR-
1038

Nr.

Kopija:

UAB „Takeda“; el. paštas: lt-info@takeda.com

UAB „Johnson & Johnson“; el. paštas: lt@its.jnj.com

UAB „Roche Lietuva“; el. paštas: info.vilnius@roche.com

UAB „Sanofi-Aventis Lietuva“; el. paštas: Jura.Smilgaite@sanofi.com

UAB „Bayer“; el. paštas: solveiga.kurtinaityte@bayer.com

UAB „Merck Sharp & Dohme“; el. paštas: msd_lietuva@merck.com

UAB „Eli Lilly Lietuva“; el. paštas: adomaitis_roland@lilly.com

SIA „Novartis Baltics“ Lietuvos filialas;

el. paštas: ramune.lauciuviene@novartis.com

DĖL VAISTINIŲ PREPARATŲ TERAPINĖS VERTĖS PERVERTINIMO

Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos (toliau – Tarnyba), laikydama sveikatos apsaugos ministro 2019 m. liepos mėn. 5 d. įsakymo V-792 „Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. balandžio 5 d. įsakymo Nr. 159 „Dėl ligų, vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių įrašymo į kompensavimo sąrašus ir jų keitimo tvarkos aprašo patvirtinimo“ pakeitimo“ 2.2 papunkčio, pagal kompetenciją pateikia Derybų komisijoje svarstomų bei Rezerviniame vaistų sąrašė esančių vaistinių preparatų nustatytas terapines vertes.

PRIDEDAMA. Lentelė, 6 lapai.

Viršininko pavaduotojas,
laikinei vykdančiai viršininko funkcijas

Žydrūnas Martinėnas

E. Karinauskė, el. p. EgleKarinauske@vvkt.lt

V. Galaunė, el. p. VaidotasGalaune@vvkt.lt

Lentelė. Derybų komisijoje svarstomų ir Rezerviniame vaistų sąrašė esančių vaistų naujai nustatytos terapinės vertės

| Nr. | Būsena | Indikacija | Pareiškėjas | Nustatyta terapinė vertė | Esminis paaiškinimas |
|--|------------------------------------|-------------|-------------------------|--------------------------|---|
| Derybų komisijoje svarstomi vaistiniai preparatai | | | | | |
| 1. | Brentuksimabo vedotinas (Adcetris) | C81.0-C81.9 | UAB „Takeda“ | Nepervertinta | <p>UAB „Takeda“ informavo, kad sutinka su Tarptautine derybų komisija pasiekto susitarimo dėl vaistinio preparato brentuksimabo vedotinas (Adcetris) kompensavimo sąlygomis (2019-07-03 derybų protokolas DPI0/1) bei prašo iš naujo nevertinti vaisto terapinės vertės ir įtraukti Adcetris į kompensavimo sąrašą svarstomai indikacijai.</p> |
| 2. | Abirateronum (Zytiga) | C61 | UAB „Johnson & Johnson“ | 10 | <p>Atliktas pervaldinimas, remiantis Kompensavimo komisijos nustatyta skyrimo sąlyga „Zytiga kartu su prednizonu (arba prednizonu) ir androgenų deprivacijos terapija būtų skiriama naujai diagnozuoto didelės rizikos metastazavusio hormonams jautraus prostatos vėžio (mHJPV) gydymui suaugusiems vyrams, kuriems: 1) GLEASON ≥ 8; 2) blogai diferencijuota adenokarcinoma; 3) kaulų scintigrafijoje nustatoma ≥ 4 metastazių grupės ar pavienės metastazės; 4) metastazės visceraliniuose organuose, bet ne limfiniuose mazguose; 5) negalima chemoterapija. Gydymą stiria specializuotą onkologinę pagalbą teikiančioje asmens sveikatos priežiūros įstaigoje dirbantis gydytojas onkologas chemoterapeutas arba gydytojas urologas, po gydymo rezultatus konsultuojantis su gydytoju onkologu chemoterapeutu arba klinikinį tyrimą LATITUDE kriterijus.</p> <p>Randomizuotame, dvigubai aklame, placebo kontroliuojamame, 3 fazės klinikiname tyrime LATITUDE, kuriame abiraterono skiriamas kartu su prednizonu bei taikant androgenų deprivacijos terapiją (ADT) efektyvumas ir saugumas buvo lyginamas tik su ADT naujai diagnozuoto didelės rizikos metastazavusio hormonams jautraus prostatos vėžio (mHJPV) gydymui. Po 30,4 mėn. stebėjimo laikotarpio abiraterono grupėje bendrojo išgyvenamumo (BI) mediana nepasiekta, o placebo gr. – 34,7 mėn.; santykinė mirties rizika 0,62; 95% PI: [0,51-0,76]; $p < 0,001$. Radiografiniais metodais patvirtinto išgyvenamumo be ligos progresavimo (rIBLP) mediana abiraterono gr. buvo 33 mėn., o placebo gr. – 14,8 mėn.; santykinė rizika 0,47; 95% PI: [0,39-0,55]; $p < 0,001$.</p> <p>Po 41,4 mėn. ilgalaikio stebėjimo BI rizika abiraterono grupėje išliko reikšmingai mažesnė, lyginant su placebo (HR=0,638; 95% PI: 0,538 – 0,758; $p < 0,001$), tačiau BI mediana tiriamąjoje grupėje nepasiekta.</p> |

| | | | | | |
|----|------------------------------|-----------------|--|----|--|
| 3. | Tocilizumabum (RoActemra) | M31.5, M31.6 | UAB "Roche Lietuva" | 10 | <p>Tarnyba nustato, kad vaistinio preparato terapinė nauda yra nesiskirianti: bent vienu tiesioginiu palyginamuoju klinikinio tyrimu, kuriame vaistinio preparato pranašumas įrodytas tik pagal nevaldiuotais pakaitines vertinamas baigtis lyginant su palyginamuoju gydymu (10 balų).</p> <p>Atliktas pervaldinimas remiantis registruota vaistinio preparato indikacija „<i>tocilizumabas skirtas gigantinių ląstelių arteritu sergantiems suaugusiems gydyti</i>“.</p> <p>Pareikšėjas terapinės vertės nustatymui buvo pateikęs vieną klinikinį tyrimą GIACTA. Šiame klinikiniam tyrime gydymas tocilizumabu ir GKK (tiriamosios grupės), buvo lygintas su placebo ir GKK (kontrolinės grupės). Pagrindinė vertinamoji baigtis, buvo išlaikyta ligos remisija 52sav. tyrimo savaitę, nesant GKK poreikiui. Pagrindinė vertinamoji baigtį pasiekė 56proc. pacientų, kuriems tocilizumabas buvo skirtas 1k. sav., 53proc. pacientų, kuriems tocilizumabas buvo skirtas kas antrą sav., ir 14proc. pacientų gavusių placebo ir 26sav. GKK kursą. Klinikiniam tyrime gydymas tocilizumabu ir GKK nebuvo palygintas su šiuo metu jau kompensuojamais vaistais gigantinių ląstelių arteritu sergantiems suaugusiems gydyti pvz. metotreksatu. Tarnyba pažymi jog tiesioginio palyginimo tarp tocilizumabo ir optimalaus šiuo metu prieinamo gydymo nėra (metotreksato), tačiau yra įrodytas tocilizumabo pranašumas prieš kitą kompensuojamą gydymą (GKK). Atsižvelgiant į tai, kad netiesioginiai palyginimai paraiškos pateikimo metu nebuvo galimi, Tarnyba traktuoja, jog vaistinio preparato terapinė nauda yra nesiskirianti (10 balų).</p> |
| 4. | Dupilimumabas (Dupixent) | L20 | UAB „Sanofi- Aventis Lietuva“ | 10 | <p>Atliktas pervaldinimas, remiantis Komisijos nustatyta skyrimo sąlyga „<i>suaugusiems pacientams, sergantiems sunkiu atopiniu dermatitu, kuriems vietinis gydymas yra nepakankamas, o sisteminis gydymas yra netinkamas dėl neefektyvumo ar kontraindikacijų</i>“.</p> <p>Pareikšėjas vertinimui buvo pateikęs du randomizuotus, dvigubai aklus, daugiacentrius, placebo kontroliuojamus 3 fazės klininius tyrimus CAFE ir CHRONOS. Abejuose tyrimuose pacientai buvo atsitiktinai suskirstyti į tris grupes: 1) 300 mg dupilimumabo vieną kartą per savaitę (toliau 1xs); 2) 300 mg dupilimumabo vieną kartą per dvi savaites (toliau x2s); 3) placebo. CAFE tyrimo pagrindinė vertinamoji baigtis buvo pacientų, kuriems po 16 sav. gydymo nustatytas ≥ 75proc. EASI rodiklio pagerėjimas lyginant su pradiniu, dalis. Pacientų, pasiekusių EASI-75 po 16 sav. gydymo dalis buvo statistiškai reikšmingai didesnė dupilimumabo grupėse negu placebo (59,1 proc. 300 mg dupilimumabo 1xs ir 62,6% 300 mg dupilimumabo x2s vs 29,6% placebo grupėje, $p < 0,001$). CHRONOS tyrime pagrindinės vertinamosios baigtys buvo dvi: 1. Dalis pacientų, kuriems po 16 sav. gydymo IGA įvertinimas buvo 0 arba 1, arba IGA sumažėjo 2 arba daugiau balų (toliau –IGA); 2. Dalis pacientų, kuriems po 16 sav. gydymo EASI rodiklis pagerėjimas ≥ 75 proc. Dalis pacientų, kurie po 16 gydymo sav. pasiekė IGA placebo grupėje sudarė 12 proc., x2s grupėje – 39 proc. (lyginant su placebo $p < 0,0001$), 1xs grupėje 39 proc. (lyginant su placebo $p < 0,0001$). Dalis pacientų, kuriems po 16 gydymo sav. EASI rodiklis pagerėjo ≥ 75 proc., lyginant su pradiniu, placebo grupėje buvo 23 proc., x2s – 69 proc. (lyginant</p> |

| | | | | | |
|---|--------------------------|-------|---------------------|----|---|
| | | | | | <p>su placebo $p < 0,0001$), 1xs – 64 proc. (lyginant su placebo $p < 0,0001$). Tarnyba pažymi jog tiesioginio palyginimo tarp dupilimumabo ir optimalaus šiuo metu prieinamo gydymo (fototerapijos) nėra, tačiau yra įrodytas dupilimumabo pranašumas prieš placebo. Atsižvelgiant į tai, kad netiesioginiai palyginimai paraiškos pateikimo metu nebuvo galimi, Tarnyba traktuoja, jog vaistinio preparato terapinė nauda yra nesiskirianti (10 balų).</p> |
| 5. | Pertuzumabas (Perjeta) | C50 | UAB „Roche Lietuva“ | 10 | <p>Atliktas povertinimas, remiantis Kompensavimo komisijos nustatyta skyrimo sąlyga „<i>pertuzumabas derinyje su trastuzumabu ir chemoterapija adjuvantiniam anksstyvojo krūties vėžio gydymui suaugusiems pacientams, sergantiems teigiamą HER2 rodmenį turinčiu anksstyvuju krūties vėžiu, kuriems yra didelė recidyvo rizika ir kuriems buvo nustatyta į limfmazgius išplitusi liga</i>“.</p> <p>Randomizuotame, dvigubai aklame, placebo kontroliuojamame, 3 fazės klinikiname tyrime APHINITY, kuriame pagrindinė vertinamoji baigtis buvo išgyvenamumas be invazinės ligos (IBIL). Invazinė liga pasireiškė 171 (7,1%) pacientui pertuzumabo ir 210 (8,7%) pacientų placebo grupėje. 3-ų metų IBIL dažnis buvo statistiškai reikšmingai didesnis pertuzumabo (94,1%) nei placebo (93,2%) grupėje su invazinės ligos rizikos santykiu (RS) 0,81 (95% PI 0,66-1,00; $P=0,045$). Atokieji recidyvai kaip pirmas invazinės ligos atvejis pasireiškė 112 (4,7%) pacientų pertuzumabo grupėje ir 139 (5,8%) pacientams placebo grupėje, o lokalus ar regioniniai recidyvai pasireiškė atitinkamai 26 (1,1%) ir 34 (1,4%) pacientams.</p> <p>Pirmoji tarpinė BI analizė parodė, kad skirtumas tarp grupių nebuvo statistiškai reikšmingas (RS 0,89; 95% PI: 0,66 – 1,21; $p=0,47$).</p> <p>Kadangi pagrindinė vertinamoji baigtis buvo surogatinė, o BI duomenys tarp grupių nesiskyrė, Tarnyba nustato, kad vaistinio preparato terapinė nauda yra nesiskirianti: bent vienu tiesioginiu palyginamuoju klinikinio tyrimu, kuriame vaistinio preparato pranašumas įrodytas tik pagal nevalduotas pakaitines vertinamas baigtis lyginant su palyginamuoju gydymu (10 balų).</p> |
| Rezerviniame vaistų sąrašė esantys vaistiniai preparatai | | | | | |
| 6. | Regorafenibas (Stivarga) | C22.0 | UAB „Bayer“ | 11 | <p>Atliktas povertinimas, remiantis pirminio vertinimo metu nustatyta skyrimo sąlyga „<i>pacientams, kuriems prieš tai buvo taikytas gydymas sorafenibu</i>“: Ši skyrimo sąlyga atitinka įtraukimo į klinikinį tyrimą kriterijus.</p> <p>Randomizuotame, dvigubai aklame, lygiagrečių grupių, 3 fazės klinikiname tyrime RESORCE pagrindinė vertinamoji baigtis buvo BI. BI mediana regorafenibo ir placebo grupėse buvo 10,6 mėn. (95% PI 9,1-12,1) ir 7,8 mėn. (95% PI 6,3-8,8); santykinės rizikos santykis 0,63 (95% PI 0,5-0,79), vienpusis $p < 0,0001$.</p> <p>IBLP mediana regorafenibo ir placebo grupėse buvo 3,1 mėn. (95% PI 2,8-4,2) ir 1,5 mėn. (95% PI 1,4-1,6).</p> |

| | | | | | |
|----|------------------------------------|---------------------|---------------------------|----|--|
| | | | | | <p>Tarnyba nustato, kad vaistinio preparato terapinė nauda yra pridėtinė: tiesioginiu palyginamuoju klinikinio tyrimu įrodytas vaistinio preparato pranašumas (angl. <i>superiority</i>), vertinant pagal pagrindinę vertinamąją baigtį (BI) prieš placebo, nesant palyginamojo gydymo, antrai kepenų ląstelių karcinomos gydymo eilei (11 balų).</p> |
| 7. | Brentuksimabo vedotinas (Adcetris) | C84.0, C84.1, C86.6 | UAB „Takeda“ | 10 | <p>Atliktas pervertinimas remiantis registruota vaistinio preparato indikacija „<i>brentuksimabo vedotinas skirtas suaugusiems, CD30+ odos T ląstelių limfoma (OTLL) sergantiems pacientams, kuriems anksčiau buvo taikytas bent 1 sisteminio poveikio gydymo būdas, gydyti</i>“.</p> <p>Vertinimui atlikti Pareiškėjas buvo pateikęs tris tyrimus ALCANZA (3 fazės, kontroliuojamas), LYMNHL0089 (2 fazės, nekontroliuojamas, vienos grupės), NCT01352520 (2 fazės, nekontroliuojamas, vienos grupės). ALCANZA klinikiniam tyrimo terapija brentuksimabo vedotino buvo lyginama su terapija metotreksatu arba beksarotenu (tyrėjo pasirinkimas, kontrolinė grupė). Pagrindinė vertinamoji baigtis buvo pacientų dalis kuriems 4 mėnesius tęsiasi objektyvus atsakas (toliau 4OA). Brentuksimabo vedotino grupėje 4OA pasiekė 56,3proc., o kontrolinėje grupėje 12,5proc., skirtumas tarp grupių statistiškai reikšmingas ($p < 0,0001$). Pagrindinė vertinamoji baigtis ALCANZA tyrime 4OA yra pakaitinė, nevaliduota. BI klinikiniam tyrimo nevertintas. Kiti pareiškėjo pateikti tyrimai yra vienos grupės, todėl jie terapinei vertei nustatyti yra netinkami ir rezultatai nevertinami. Atsižvelgiant į tai Tarnyba nustato, kad vaistinio preparato terapinė nauda yra nesiskirianti: pranašumas įrodytas tik pagal nevaliduotas pakaitines vertinamąsias baigtis (4OA) lyginant su palyginamuoju gydymu (metotreksatu) (10 balų).</p> |
| 8. | Okrelizumabas (Ocrevus) | G35 | UAB „Roche Lietuva“ | 11 | <p>Atliktas pervertinimas remiantis registruota vaistinio preparato indikacija „<i>Ocrevus skirtas ankstyvąja pirmine progresuojančia išėtine skleroze (PPIS), kuri apibūrinama pagal ligos trukmę, negalios laipsnį ir uždegiminiam aktyvumui būdingais vaizdinių tyrimų požymiais, sergantiems suaugusiems pacientams gydyti</i>“.</p> <p>Pateiktas ORATORIO klinikiniam tyrimo OKR buvo lygintas su placebo. Pagrindinė vertinamoji baigtis yra pacientų dalis, kuriems patvirtintas negalios progresavimas 12sav. pagal EDSS. OKR grupėje 12sav. negalia progresavo 32,9proc. pacientų, o placebo grupėje 39,3proc. pacientų, skirtumas statistiškai reikšmingas $p < 0,03$. Atsižvelgiant į tai, kad šiuo metu PPIS gydymas vaistais, nėra kompensuojamas, Tarnyba nustato, jog vaistinio preparato terapinė nauda yra pridėtinė: vertinant pagal pagrindinę vertinamąją baigtį prieš placebo, nesant palyginamojo gydymo (11 balų).</p> |
| 9. | Pembrolizumabas (Keytruda) | C34 | UAB „Merck Sharp & Dohme“ | 12 | <p>Atliktas pervertinimas, remiantis Kompensavimo komisijos nustatyta skyrimo sąlyga „<i>įrašyti vaistinių preparatų Pembrolizumabą (Keytruda), skirtą suaugusiems su diagnozuotu metastazavusio nesmūktųjų ląstelių plaučių vėžio (TLK-10-AM kodai C34) pirmaeiliam gydymui pacientams, kurių navikuose PD-L1 raiška naviko proporcijos balas yra ≥ 50 proc., o epidermio augimo faktoriaus</i></p> |

| | | | | | |
|-----|----------------------------|---------|---------------------------|---|--|
| | | | | <p><i>receptoriaus raiška naviko mutacijų ar ALK translokacijų nemustatyta</i>“. Ši skyrimo sąlyga atitinka registruotą pembrolizumabo indikaciją.</p> <p>Atvirame, randomizuotame, 3 fazės klinikiniame tyrime KEYNOTE-024 pagrindinė vertinamoji baigtis buvo IBLP, o esminė antrinė – BI. IBLP mediana pembrolizumabo gr. buvo 10,3 mėn. (95% PI 6,7- nepasiektas), o standartinės chemoterapijos – 6 mėn. (95% PI 4,2-6,2). Ligos progresavimo ar mirties rizikos santykis buvo 0,5; 95% PI 0,37-0,68; p<0,001.</p> <p>Bendrojo išgyvenamumo mediana nepasiekta, pateikti tik 6 mėn. išgyvenusių tiriamųjų duomenys: pembrolizumabo gr. 80,2%, o st. chemoterapijos – 72,4%.</p> <p>Remiantis antrinio vertinimo metu pateikta atnaujinta preparato charakteristikų santrauka, kurioje pateikti duomenys po pacientų, dalyvavusių KEYNOTE-024, 25 mėn. stebėjimo, pasiekta BI mediana pembrolizumabo gr. 30,0 mėn. (95% PI 18,3-nepasiekta), o st. chemoterapijos 14,2 mėn. (95% PI 9,8-19,0).</p> <p>Tarnyba nustato, kad vaistinio preparato terapinė nauda yra pridėtinė: tiesioginiu palyginamuoju klinikiu tyrimu KEYNOTE-024 įrodytas pembrolizumabo pranašumas, vertinant pagal antrinę tiesioginę (BI) vertinamąją baigtį prieš palyginamąjį gydymą (standartinė chemoterapija) (12 balų).</p> | |
| 9. | Pembrolizumabas (Keytruda) | C65-C68 | UAB „Merck Sharp & Dohme“ | 12 | <p>Atliktas pervalinimas, remiantis Komensavimo komisijos nustatyta skyrimo sąlyga „<i>įrašyti vaistinių preparatų Pembrolizumabą (Keytruda), skirtą suaugusiems, esant lokaliai progresavusiai arba metastazuusiai uroelio karcinomai (TLK-10-AM kodas C65-C68) gydyti suaugusiems, kuriems anksčiau buvo taikyta chemoterapija, kurios sudėtyje buvo platinos preparatų, į vieną Rezervinio vaistų sąrašo eilutę</i>“. Ši skyrimo sąlyga atitinka registruotą pembrolizumabo indikaciją.</p> <p>Atvirame, randomizuotame, 3 fazės klinikiniame tyrime KEYNOTE-045 pagrindinė vertinamoji baigtis buvo sudėtinė: bendrasis išgyvenamumas (BI) ir išgyvenamumas be ligos progresavimo (IBLP). BI mediana pembrolizumabo ir kontrolinėje grupėse buvo atitinkamai 10,3 mėn. (95% PI 8-11,8) ir 7,4 mėn. (95% PI 6,1-8,3). Santykinė rizika 0,73 (95% PI 0,59-0,91; p=0,002).</p> <p>IBLP mediana statistiškai reikšmingai tarp grupių nesiskyrė: santykinė rizika 0,98 (95% PI 0,81-1,19; p=0,42).</p> <p>Tarnyba atkreipia dėmesį, kad BI prieaugis – 2,9 mėn. Tarnyba nustato, kad vaistinio preparato terapinė nauda yra pridėtinė: tiesioginiu palyginamuoju klinikiu tyrimu KEYNOTE-045 įrodytas pembrolizumabo pranašumas, vertinant pagal pagrindinę tiesioginę (BI) vertinamąją baigtį prieš palyginamąjį gydymą (platinos pagrindo chemoterapija) (12 balų).</p> |
| 10. | Ramucirumab (Cyramza) | C34 | UAB „Eli Lilly Lietuva“ | 12 | <p>Atliktas pervalinimas remiantis, Komensavimo komisijos nustatyta skyrimo sąlyga „<i>skiriamas kartu su docetakseliu suaugusiems pacientams, kuriems diagnozuotas lokaliai išplitęs arba metastazuojantis nesmulkiųjų ląstelių plaučių vėžys, kuris yra atsparus pirmos eilės platinos pagrindo chemoterapijai ar liga progresuoja per 9 mėnesius nuo pirmosios chemoterapijos pradžios. Atsparus gydymui NSLPV</i>“.</p> |

| | | | | | |
|-----|------------------------|-------|--|----|--|
| | | | | 11 | <p><i>nustatomas, kai nepasiekiamas joks atsakas į gydymą (stabili liga, dalinis atsakas, visiškas atsakas), vadovaujantis RECIST 1.1 kriterijais“. Pareiškėjas terapinės vertės nustatymui buvo pateikęs vieną klinikinį tyrimą REVEL. Tiriamiesiems klinikiškai tiriamame tyrime buvo skirtas docetakselis su ramucirumabu (tiriamoji grupė), arba docetakselis su placebo (kontrolinė grupė). Pagrindinė vertinamoji baigtis BI, buvo statistiškai reikšmingai ilgesnis tiriamoji grupėje (10,5 mėn.), lyginant su kontroline (9,1 mėn.), p=0,024. Tarnyba atkreipia dėmesį, jog BI prieaugis – 1,4 mėn. Tarnyba nustato, jog vaistinio preparato terapinė nauda yra reikšminga pridėtinė: tiesioginiu palyginamuoju klinikiu tyrimu įrodytas vaisto pranašumas pagal pagrindinę tiesioginę (BI) vertinamąją baigtį prieš palyginamąją gydymą (docetakselį) (12 balų).</i></p> <p>Atliktas pervertinimas, remiantis antrinio vertinimo metu nustatyta skyrimo sąlyga „<i>netaikant amžiaus ir lyties apribojimų, tačiau taikant kompensavimo laikotarpio apribojimą (vieneriems metams)</i>“ 3 fazės, daugiacentriniam, randomizuotame, dvigubai aklame, placebo kontroliuojamame klinikiškai tirime RATIFY midostaurino efektyvumas ir saugumas buvo lygintas su placebo, jį skiriant kartu su indukcine chemoterapija, rezultatus. Pagrindinė vertinamoji baigtis buvo bendrasis išgyvenamumas (BI). Tyrimo dalyvavo 18-60 metų pacientai, kuriems buvo naujai diagnozuota ŪML ir nustatyta FLT3 mutacija. Midostaurino derinys su indukcine ir konsoliduojančia chemoterapija buvo veiksmingesnis nei vien indukcine ar konsoliduojanti chemoterapija. Šis derinys statistiškai reikšmingai pailgino išgyvenamumą be ligos progresijos (IBLP) abiejų lyčių 18-60 amžiaus pacientams, tačiau BI tik vyrams. Šis skirtumas galėjo būti dėl neteisingai subalansuotų grupių (daugiau moterų placebo nei midostaurino grupėje (n=212 vs. n=186) ir dėl, kad vyrams dažniau pasiekama remisija ir atliekama KKL. Tarnyba nustato, kad vaistinio preparato terapinė nauda yra pridėtinė: tiesioginiais palyginamaisiais klinikiškai tiriamais įrodytas vaistinio preparato pranašumas, vertinant pagal pagrindinę vertinamąją baigtį (BI) prieš placebo, nesant palyginamojo gydymo, kuriems pasiekta pilna ŪML remisija ir nustatyta FLT3 mutacija (11 balų).</p> |
| 11. | Midostaurinas (Rydapt) | C92.0 | SIA „Novartis Baltics“ Lietuvos filialas | 11 | |