
**SPOLEČNÉ STANOVISKO VZP ČR A PEDIATRICKO
ONKOLOGICKÉ SEKCE ČESKÉ ONKOLOGICKÉ
SPOLEČNOSTI ČESKÉ LÉKAŘSKÉ SPOLEČNOSTI JANA
EVANGELISTY PURKYNĚ (POS ČOS ČLS JEP)**

**DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ
S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY EVEROLIMUS A SÍŤ
INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER**

PRACOVNÍ SKUPINA PRO NEHRAZENÉ LP

ÚSTŘEDÍ VZP ČR

5. 9. 2019

PREAMBULE

Zástupci Všeobecné zdravotní pojišťovny České republiky (dále jen „VZP ČR“) a zástupci Pediatricko onkologické sekce České onkologické společnosti České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně (dále také jen „POS ČOS ČLS JEP“) se shodují na medicínské potřebě zajištění moderní léčby dětských pacientů do 18 let věku, případně mladých dospělých s nádorovým onemocněním vzniklým v dětském věku s progredujícími, relabujícími, refrakterními nebo primárně metastatickými malignitami vysokého rizika, kteří jsou léčeni v Národních onkologických centrech.

Cílená léčba, event. imunoterapie je volena individuálně, s ohledem na mechanismus účinku jednotlivých léčivých přípravků na základě komplexního zhodnocení individuálního biologického profilu nádoru a jeho nositele zahrnující mj. histopatologické vyšetření, včetně zhodnocení nádorového mikroprostředí, cílené PCR vyšetření, celogenomové či celoexomové sekvenování somatické i germinální, fosfoproteomiku, molekulárně cytogenetická vyšetření, vč. metod arrays, vyšetření celkové mutační nálože a mutačního podpisu, předléčenost pacienta spolu s jeho konkomitantní medikací. Tato léčba je nasazována jen tehdy, není-li k dispozici adekvátní terapie vyšší priority.

Odborná společnost zaručuje, že bude indikovat léčbu výlučně za podmínek vědeckých důkazů její účinnosti a bezpečnosti, které vyplývají z realizovaných klinických studií studujících léčivo v předmětné indikaci.

SPOLEČNÉ STANOVISKO

Za účelem potřeby upřesnění odborných doporučení pro použití cílené léčby dětských nádorových onemocnění LP s obsahem účinné látky EVEROLIMUS u dětských pacientů s nádorovým onemocněním a prokázanou aktivací mTOR a VEGF formulují VZP ČR a POS ČOS toto SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY EVEROLIMUS A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ

LP s obsahem účinné látky EVEROLIMUS (ATC skupina L01XE10), který je selektivním inhibitorem mTOR [cílové místo účinné látky SIROLIMUS (rapamycin) u savců]. mTOR je klíčová serin/threonin kináza, jejíž aktivita je u mnoha lidských nádorů zvýšená. EVEROLIMUS se váže na intracelulární protein FKBP-12 a tvoří komplex, který inhibuje aktivitu mTOR komplexu-1 (mTORC1). Inhibice mTORC1 signální kaskády interferuje s translací a syntézou proteinů redukcí aktivity ribozomální protein-S6-kinázy (S6K1) a vazebného proteinu 4E (4EBP-1) eukaryotického elongačního faktoru, které regulují proteiny zapojené do buněčného cyklu, angiogeneze a glykolýzy. S6K1 se považuje za aktivační funkční doménu 1 estrogenového receptoru zodpovědnou za aktivaci receptoru, která je nezávislá na ligandu. EVEROLIMUS redukuje hladinu vaskulárního endoteliálního růstového faktoru (VEGF), který potencuje nádorové angiogenní procesy. EVEROLIMUS je účinný inhibitor růstu a proliferace nádorových buněk, endoteliálních buněk, fibroblastů a buněk hladkého svalstva krevních cév. Bylo prokázáno, že EVEROLIMUS snižuje glykolýzu v solidních nádorech.

EVEROLIMUS je vhodné použít u dětských pacientů s nádorovým onemocněním a prokázanou aktivací mTOR a VEGF.

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládán počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky EVEROLIMUS cca 5 za VZP ČR za rok.


DOPORUČENÝ OKRUH POSKYTOVATELŮ ZDRAVOTNÍCH SLUŽEB

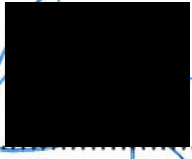
- 1) Klinika dětské hematologie a onkologie FN Motol
- 2) Klinika dětské onkologie FN Brno

PŘEDPOKLÁDANÝ FINANČNÍ DOPAD

Předpokládaný dopad hrazení LP s obsahem účinné látky EVEROLIMUS (ATC skupina L01XE10), do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 2 mil. Kč za rok.**

V Praze dne 5. 9. 2019


.....
Ing. David Šmehlík, MHA
náměstek ředitele VZP ČR pro zdravotní péči


.....
prof. MUDr. Jaroslav Štěrba, Ph.D.
předseda Pediatricko onkologické sekce České onkologické společnosti ČLS JEP