
**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 GEFITINIB 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 GEFITINIB u dětských pacientů s rekurentními, relabujícími, progredujícími nebo metastatickými nádory s aktivačními mutacemi EGFR-TK formulují VZP ČR a POS ČOS toto SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY GEFITINIB A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ

LP s obsahem účinné látky GEFITINIB (ATC skupina L01XE02), který je selektivní inhibitor tyrozinkinázy receptoru pro epidermální růstový faktor a je účinnou léčbou pro pacienty s aktivační mutací EGFR-TK (delece exonu 19; L858R) bez ohledu na linii léčby. Nebyla prokázána klinicky relevantní aktivita u pacientů bez známé mutace genu pro EGFR-TK. Epidermální růstový faktor (EGF) a jeho receptor (EGFR [HER1; ErbB-1]) byly identifikovány jako klíčové faktory v procesu buněčného růstu a proliferace normálních a nádorových buněk. Aktivační mutace EGFR v rakovinné buňce jsou důležitým faktorem pro podporu růstu nádorových buněk, blokádu apoptózy, zvýšenou produkci angiogenních faktorů a podporu procesu metastazování. Pro běžné aktivační mutace EGFR (delece exonu 19; L858R) existují robustní údaje o odpovědi podporující citlivost na GEFITINIB; např. přežití bez progresu HR (95% CI) 0,489 (0,336; 0,710) pro GEFITINIB vs duální chemoterapie [WJTOG3405]. Existuje daleko méně údajů o odpovědi na GEFITINIB u pacientů s nádory, které nesou méně časté mutace; dostupné údaje ukazují, že G719X, L861Q a S768I jsou mutacemi zvyšující citlivost; samotná mutace T790M nebo vložení samotného exonu 20 jsou mechanismy pro vznik rezistence.

GEFITINIB je vhodné použít u dětských pacientů s rekurentními, relabujícími, progredujícími nebo metastatickými nádory s aktivačními mutacemi EGFR-TK.

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládaný počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky GEFITINIB cca 3 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 GEFITINIB (ATC skupina L01XE02) do rozpočtu VZP ČR je odhadován ve výši **do 1, 5 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