
**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 TEMSIROLIMUS 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, předlécenost 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 TEMSIROLIMUS u dětských pacientů s nádorovým onemocněním a prokázanou aktivací mTOR, HIF a VEGF formulují VZP ČR a POS ČOS toto **SPOLEČNÉ STANOVISKO – DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ S OBSAHEM ÚČINNÉ LÁTKY TEMSIROLIMUS A SÍŤ INDIKUJÍCÍCH SPECIALIZOVANÝCH CENTER.**

DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ

LP s obsahem účinné látky TEMSIROLIMUS (ATC skupina L01XE09), který je selektivní inhibitor mTOR (savčí rapamycinový cílový receptor). TEMSIROLIMUS se váže na intracelulární protein (FKPB-12) a komplex protein/TEMSIROLIMUS váže a inhibuje aktivaci mTOR, který kontroluje buněčné dělení. Inhibice aktivity mTOR vede k opožděnému růstu buněk ve fázi G1 a k zastavení růstu v důsledku selektivního narušení translace regulačních proteinů buněčného cyklu, jako jsou např. D-cykliny, cmyc a ornitin dekarboxyláza. Když je inhibován účinek mTOR, jeho schopnost fosforylovat, a tím kontrolovat aktivitu translačních proteinů (4E-BP1 a S6K, obě v metabolické cestě P13 kinázy/AKT směrem dolů od mTOR), které kontrolují buněčné dělení, je blokována. Kromě regulace proteinů buněčného cyklu, mTOR umí regulovat translaci hypoxií indukovatelných faktorů, HIF-1 a HIF-2 alfa. Tyto transkripční faktory regulují schopnost nádoru adaptovat se na hypoxické mikroprostředí a produkovat angiogenní faktory, jako např. vaskulární endoteliální růstový faktor (VEGF). Protinádorový účinek účinné látky TEMSIROLIMUS částečně využívá své schopnosti potlačovat hladiny HIF a VEGF v nádoru a jeho mikroprostředí, čímž se zpomaluje tvorba nových cév.

TEMSIROLIMUS je vhodné použít u dětských pacientů s nádorovým onemocněním a prokázanou aktivací mTOR, HIF a VEGF.

PŘEDPOKLÁDANÝ POČET PACIENTŮ

Na základě v současné době dostupných údajů je předpokládaný počet pacientů indikovaných k léčbě LP s obsahem účinné látky TEMSIROLIMUS 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 TEMSIROLIMUS (ATC skupina L01XE09), 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