

Everolimus terapijas uzsākšanas un atcelšanas kritēriji pacientiem tuberozās sklerozes ar SEGA gadījumos

Everolimus ir selektīvs mTOR (rapamicīna mērķa receptors zīdītājiem) inhibitors. mTOR ir galvenā serīna - treonīna kināze, kuras aktivitāti vairumā cilvēka vēža gadījumā nepieciešams regulēt. Tā efektivitāte apliecināta klīniskajos pētījumos. Starptautiski atzītās vadlīnijās un klīniskajās rekomendācijās šis preperāts atzīts par izvēles preperātu tuberozās sklerozes ar subependimālās milzušūnu astrocitomas (SEGA – *subependymal giant cell astrocytoma*) gadījumos.

Pētījumos ir pierādīts, ka sākot pacientu ārstēt ar šo medikamentu, vērojams SEGA apjoma samazināšanās, nevienam pacientam netika konstatēti jauni bojājumi, hidrocefālijas pasliktināšanās vai intrakraniālā spiediena paaugstināšanās, kā arī neradās ķirurģiskas rezekcijas vai cita veida terapijas nepieciešamība SEGA ārstēšanai.

Nozīmēšanas nosacījumi:

1. Pacientam ir Tuberoza skleroze un SEGA (lielākais mezgls vismaz 1 cm diametrā).
2. Pacientam ķirurģiska ārstēšana nav ieteicama, piem.:
 - a. Tehniski sarežģīta operācija,
 - b. Pirms operatīvas ārstēšanas vēlama SEGA izmēru samazināšana,
 - c. Multiplas un infiltratīvas SEGA,
 - d. Reziduāli SEGA audi pēc operācijas.
3. Konstatēta nozīmīga SEGA augšana, jauni SEGA mezgli (lielāki par 1 cm diametrā), hidrocefālijas simptomi (bet steidzama ķirurģiska ārstēšana nav nepieciešama).
4. Pacients ir līdzestīgs un sadarbojas regulārai neiroloģiskai un neiroradioloģiskai novērošanai:
 - a. Neiroloģiska izmeklēšana.
 - b. Regulāra MRI galvas smadzenēm.
 - c. Zāļu līmeņa monitorēšana asinīs.

Izslēgšanas kritēriji.

1. Nepieciešama steidzama ķirurģiska intrakraniālas hipertensijas terapija.

Atcelšanas kritēriji:

1. Terapijas rezultātā SEGA palielinās.
2. Parādās jauni SEGA mezgli lielāki par 1 cm diametrā.
3. Nopietnas blaknes.
4. Akūta hidrocefālijas pastiprināšanās, nepieciešamība steidzamai ķirurģiskai ārstēšanai.

Literatūra.

Clinical Commissioning Policy: Everolimus for subependymal giant cell astrocytoma (SEGA) associated with tuberous sclerosis complex Reference: NHS England: 16066/P First published: November 2016. Prepared by NHS England Specialised Services Clinical Reference Group for Paediatric neurosciences.