

LIETUVOS RESPUBLIKOS SVEIKATOS APSAUGOS MINISTRAS  
Į S A K Y M A S

**DĖL LABAI RETOMS BŪKLĖMS GYDYTI SKIRTŲ VAISTINIŲ PREPARATŲ IR MEDICINOS PAGALBOS  
PRIEMONIŲ SĄRAŠO PATVIRTINIMO**

2016 m. kovo 29 d. Nr. V-408  
Vilnius

Vadovaudamasis Sprendimų dėl labai retų žmogaus sveikatos būklių gydymo išlaidų kompensavimo priėmimo tvarkos aprašo, patvirtinto Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2015 m. gruodžio 30 d. įsakymu Nr. V-1566 „Dėl Sprendimų dėl labai retų žmogaus sveikatos būklių gydymo išlaidų kompensavimo priėmimo tvarkos aprašo ir šių išlaidų kompensavimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“, 27 punktu, t v i r t i n u Labai retoms būklėms gydyti skirtų vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių sąrašą (pridedama).

SVEIKATOS APSAUGOS MINISTRAS

JURAS POŽELA

PATVIRTINTA

Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro  
2016 m. kovo 29 d. įsakymu Nr. V-408

*NAUJA REDAKCIJA nuo 2016 09 15  
(TAR, 2016, Nr. 2016-23574)*

*KEISTA:*

- 1. 2017 01 13 įsakymu Nr. V-46 (nuo 2017 01 18)  
(TAR, 2017, Nr. 2017-01017)*
- 2. 2017 05 25 įsakymu Nr. V-588 (nuo 2017 05 31)  
(TAR, 2017, Nr. 2017-09127)*
- 3. 2017 07 31 įsakymu Nr. V-923 (nuo 2017 08 01)  
(TAR, 2017, Nr. 2017-12878)*
- 4. 2017 12 06 įsakymu Nr. V-1390 (nuo 2017 12  
12)  
(TAR, 2017, Nr. 2017-19879)*
- 5. 2018 03 09 įsakymu Nr. V-275 (nuo 2018 03 15)  
(TAR, 2018, Nr. 2018-03934)*
- 6. 2018 04 04 įsakymu Nr. V-377 (nuo 2018 04 06)  
(TAR, 2018, Nr. 2018-05412)*

**LABAI RETOMS BŪKLĖMS GYDYTI SKIRTŲ VAISTINIŲ PREPARATŲ IR MEDICINOS PAGALBOS  
PRIEMONIŲ SĄRAŠAS**

<b>Ei l. Nr.</b>	<b>ATC kodas *</b>	<b>Bendrinis vaistinio preparato pavadinima s, farmacinė forma</b>	<b>Labai retos būklės pavadinima s</b>	<b>TLK- 10- AM kodas **</b>	<b>Skyrimo sąlygos ir (ar) gydymo stebėseną</b>
1		<b>NETEKO GALIOS:</b> <b>2019 07 03 įsakymu Nr. V-776 (nuo 2019 07 04)</b> (TAR, 2019, Nr. 2019-10919)			
2	J05AF 01	Zidovudinas (injekcijos, geriamoji skysta forma)	Žmogaus imunodef ici-to virusu (toliau – ŽIV) užsikrėtu si	B20– B24, Z21; R75 (nauja gi- miui)	Skiriama Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2011 m. gegužės 4 d. įsakymo Nr. V-439 „Dėl Žmogaus imunodeficitu viruso perdavimo iš motinos vaikui profilaktikos tvarkos aprašo patvirtinimo“ nustatyta tvarka

			nėščioji; ŽIV užsikrėtusios motinos naujagimiai		
2. 1	J05AF 06  J05AF 05  J05AG 01  J05AG 10	abakaviras (geriamoji skysta forma)  ir (ar) lamivudinas (geriamoji skysta forma)  ir (ar) nevirapinas (geriamoji skysta forma)  ir (ar) lopinaviras su ritonaviru (geriamoji skysta forma)	Žmogaus imunodeficitinio viruso (toliau – ŽIV) sukelta liga, sukėlusis kitas patikslintas būklės	B23.8	2.1.1. Skiriama vaikų iki 3 metų, kuriems nustatyta ŽIV sukelta liga, ambulatoriniam gydymui; 2.1.2. Vaistas abakaviras skiriamas gavus neigiamą ŽLA-B 5701 alelio nustatymo sekoskaitos metodu tyrimo rezultatą.
3	L04AA 03	Antilimfocitinis imunoglobulinas (angl. <i>lymphocyte immune globulin, antithymocyte globulin (horse)</i> , injekcijos)	Idiopatiniškas aplaziniškas anemijos (sunki forma)	D61.3	3.1. Skiria gydytojai hematologai arba vaikų hematologai, teikiantys tretinio lygio stacionarines asmens sveikatos priežiūros paslaugas, kai paciento būklė atitinka visas šias sąlygas: 3.1.1. kaulų čiulpų liekamųjų kraujodaros ląstelių yra mažiau negu 30 proc. (limfocitai neskaičiuojami); 3.1.2. bent du iš trijų periferinio kraujo rodiklių neatitinka normų (neutrofilų mažiau negu $0,5 \times 10^9/l$ arba trombocitų mažiau negu $20 \times 10^9/l$ , arba retikulocitų mažiau negu $60 \times 10^9/l$ ); 3.1.3. alogeninė kraujodaros kamieninių ląstelių transplantacija pacientui neindikuotina ar negalima (tai patvirtina gydytojų hematologų ar vaikų hematologų, teikiančių alogeninės kraujodaros kamieninių ląstelių transplantacijos paslaugas, konsiliumas). 3.2. Gydymo kursui skiriama vaistinio preparato dozė negali viršyti 160 mg/kg
3. 1	B02BX 05	Eltrombopagas	Idiopatiniškas aplaziniškas anemijos (sunkios formos)	D61.3	3.1.1. Skiria gydytojai hematologai arba vaikų hematologai, teikiantys tretinio lygio stacionarines asmens sveikatos priežiūros paslaugas, kai paciento būklė atitinka visas šias sąlygas: 3.1.1.1. kaulų čiulpų liekamųjų kraujodaros ląstelių yra mažiau negu 30 proc. (limfocitai neskaičiuojami); 3.1.1.2. bent du iš trijų periferinio kraujo rodiklių neatitinka normų (neutrofilų mažiau negu $0,5 \times 10^9/l$ arba trombocitų mažiau negu $20 \times 10^9/l$ , arba retikulocitų mažiau negu $60 \times 10^9/l$ );

					<p>3.1.1.3. atliktas kaulų čiulpų tyrimas ir nenustatytos 7 chromosomos citogenetinės aberacijos;</p> <p>3.1.1.4. pacientui antilimfocitinis imunoglobulinas yra neveiksmingas arba kontraindikuotinas;</p> <p>3.1.1.5. alogeninė kraujodaros kamieninių ląstelių transplantacija pacientui neindikuotina ar negalima (tai patvirtina gydytojų hematologų ar vaikų hematologų, teikiančių alogeninės kraujodaros kamieninių ląstelių transplantacijos paslaugas, konsiliumas).</p> <p>3.1.2. Gydymas vaisto doze – nuo 50 mg iki 150 mg per parą, kuria siekiama užtikrinti tikslinį trombocitų kiekį <math>\geq 50\ 000/\mu\text{l}</math>, yra ilgalaikis.</p> <p>3.1.3. Gydymas nutraukiamas, jei:</p> <p>3.1.3.1. vartojant didžiausią paros dozę, per 16 savaičių nepasiekiamas gydymo efektas;</p> <p>3.1.3.2. vartojant mažiausią vaisto dozę (50 mg per parą), 8 savaites išlieka stabilus gydymo efektas.</p>
4	B06AC01  arba B06AC04	C1 esterazės inhibitorius (plazmos derivatas) (injekcijos) arba konestatas alfa (injekcijos)	Įgimtos angioedemos priepuolio dėl C1 esterazės inhibitoriaus [C1-INH] stokos gydymas	D84.1	<p>4.1. Skyrimo sąlygos – skiria gydytojai alergologai ir klinikiniai imunologai ūmiam angioedemos priepuoliui gydyti. Vieno priepuolio metu skiriamos ne daugiau kaip 4 C1 esterazės inhibitoriaus dozės arba ne daugiau kaip 2 konestato alfa dozės.</p> <p>4.2. Diagnozė patvirtinama gydytojų alergologų ir klinikinių imunologų konsiliumo (toliau – konsiliumas), jei ne mažiau kaip dviem tyrimais nustatomas C1 esterazės inhibitoriaus bei komplemento C4 kiekio kraujo serume trūkumas ir kartojasi staigūs angioedeminiai tinimai (nustatoma C1 esterazės inhibitoriaus [C1-INH] stoka D84.1).</p> <p>4.3. Prieš skiriant gydymą konestatu alfa, pacientas turi būti iširtas dėl alergijos triušio baltymui (jei nustatoma alergija triušio baltymui, tai nurodoma konsiliumo išvadoje). Tyrimai dėl alergijos turi būti kartojami kaskart, atlikus 10 vaisto injekcijų.</p> <p>4.4. Vienu kartu išduodama tokio vaisto kiekio, kurio užtektų 6 priepuolių gydymui, įsigijimo išlaidų kompensavimo garantija. Vaisto pasirinkimas turi būti mediciniškai pagrįstas konsiliumo išvadomis ir mažiausia rinkoje esančio šio vaisto kaina. Pacientui į namus gali būti išduodamas ne didesnis vaisto kiekis, nei būtinas 2 priepuoliams gydyti, paciento medicinos dokumentuose darant įrašą apie C1 esterazės inhibitoriaus [C1-INH] stokos (D84.1) ar angioneurozinės edemos (T78.3) priepuolio gydymą (nurodoma paslaugos suteikimo data ir vieta).</p> <p>4.5. Jei taikant profilaktinį gydymą traneksamo rūgštimi arba danazolu angioneurozinės edemos priepuoliai (pacientą priepuolių metu gydant stacionare) kartojasi daugiau kaip 12 kartų per metus, Sveikatos apsaugos ministerijos Labai retų žmogaus sveikatos būklių gydymo išlaidų kompensavimo komisija apsvaisto gydymo įstaigos prašymą ir, jei jis pagrįstas, priima sprendimą dėl profilaktinio gydymo C1 esterazės inhibitoriumi (plazmos derivatu) išlaidų kompensavimo pradžios</p>
5	L01XX27	Arseno trioksidas	Ūminė promielo citinė leukemija	C92.4	<p>5.1. Skiria gydytojai hematologai arba vaikų hematologai, teikiantys tretinio lygio stacionarines asmens sveikatos priežiūros paslaugas, kai paciento būklė atitinka visas šias sąlygas:</p> <p>5.1.1. pirmą kartą diagnozuota mažos arba vidutinės rizikos (leukocitų skaičius <math>\leq 10 \times 10^9/\text{l}</math>), arba recidyvuojanti, arba refrakterinė ūminė promielocitinė leukemija (po gydymo tretinoinu ir chemoterapijos);</p>

					5.1.2. nustatyta geno translokacija t(15; 17) ir (ar) PML-RARA sulietinis genas ar RARA geno variantinė translokacija
6	H02AB13	Deflazakortas (geriamoji forma)	Raumenų distrofija, Diušeno ( <i>Duchenne</i> )	G71.0	6.1. Skiria gydytojai neurologai arba vaikų neurologai, teikiantys tretinio lygio stacionarines asmens sveikatos priežiūros paslaugas, jei paciento būklė atitinka visas šias sąlygas: 6.1.1. nustatyta raumenų distrofija (Diušeno), kuri yra patvirtinta DMD geno mutacija; 6.1.2. nustatyta sustojusi vaiko motorinė raida arba vaikystėje nustatytas motorinių funkcijų blogėjimas. 6.2. Skiriama vaistinio preparato dienos dozė neviršija 0,9 mg/kg. 6.3. Gydomo tęsimo tikslingumą ne rečiau kaip kartą per 12 mėnesių vertina ir, jei reikia, patvirtina gydytojai neurologai arba vaikų neurologai, teikiantys tretinio lygio stacionarines asmens sveikatos priežiūros paslaugas. 6.4. Gydytas deflazakortu nutraukiamas, jei pacientas susergera tuberkulioze ar kitomis sunkiomis išplitusiomis infekcijomis
7	L01XC19	Blinatumomabas (milteliai koncentratui ir tirpalas infuziniam tirpalui)	Ūminė limfoblastinė leukemija (B ląstelių pirmtakų fenotipas)	C91.0	7.1. Skiria gydytojai hematologai arba vaikų hematologai, teikiantys tretinio lygio stacionarines alogeninės kraujodaros kamieninių ląstelių transplantacijos paslaugas, jei paciento būklė atitinka visas šias sąlygas: 7.1.1. diagnozuojama recidyvuojanti ar į gydymą chemoterapija nereaguojanti B ląstelių pirmtakų ūminė limfoblastinė leukemija (kai tyrimais nenustatoma Filadelfijos chromosoma); 7.1.2. pacientui planuojama atlikti alogeninę kraujodaros kamieninių ląstelių transplantaciją ir yra surastas giminingas donoras arba, neradus giminingo donoro, pradėta negiminingo donoro paieška (pacientas yra įrašytas į Pacientų, kuriems bus atliekama kraujodaros kamieninių ląstelių transplantacija, sąrašą); 7.2. iš pradžių skiriami du gydymo blinatumomabu kursai po 28 dienas (ne daugiau kaip 56 vaisto flakonai). Jei numatoma skirti daugiau gydymo kursų, teikiant prašymą tęsti gydymą (ne daugiau kaip dėl trijų papildomų konsolidavimo gydymo kursų) gydytojų konsiliumo išvadose būtina išsamiai pagrįsti po pirmųjų dviejų gydymo kursų pasiektus terapinius rezultatus ir gydymo efektyvumą.
8	B02BD07	Kraujo krešėjimo faktorius XIII (milteliai ir tirpalas injekciniam tirpalui)	Paveldėtoji kitų krešėjimo veiksnių stoka (XIII fibriną stabilizuojančio veiksnio stoka)	D68.2	8.1. Skiria gydytojai hematologai arba vaikų hematologai, teikiantys tretinio lygio asmens sveikatos priežiūros paslaugas, jei paciento būklė atitinka visas šias sąlygas: 8.1.1. jei nustatoma sunki XIII fibriną stabilizuojančio veiksnio stoka – aktyvaus kraujo krešėjimo veiksnio XIII dalis kraujo plazmoje yra mažesnė nei 1 proc. arba 8.1.2. jei aktyvaus kraujo krešėjimo veiksnio XIII dalis kraujo plazmoje sudaro nuo 1 proc. iki 5 proc. ir pasireiškia: 8.1.2.1. gausus kraujavimas į sąnarius, raumenis; 8.1.2.2. gyvybei pavojingas kraujavimas iš virškinamojo trakto, šlapimo takų, gimdos, kraujavimas į klubinį juosmens raumenį, į centrinę nervų sistemą; 8.1.2.3. pasikartojantis (daugiau kaip du kartus per mėnesį) kraujavimas iš gleivinės (burnos, nosies, gimdos virškinamojo trakto, šlapimo takų), jei dėl šio kraujavimo nustatoma geležies stoka sukelta mažakraujystė (pagal TLK-10-AM žymima D50).

					<p>8.2. Kas 28 dienas skiriama vaistinio preparato profilaktinė dozė negali viršyti 40 VV/kg.</p> <p>8.3. Jei prireikia didesnio vaistų kiekio dėl chirurginės intervencijos ar nėštumo išsaugojimo, sprendimą dėl šio vaistų kiekio kompensavimo priima Sveikatos apsaugos ministerijos Labai retų žmogaus sveikatos būklių gydymo išlaidų kompensavimo komisija, atsižvelgdama į gydytojų konsiliumo išvadas.</p>
9	H01AC03	Mekaserminas (injekcinis tirpalas)	Mažas ūgis, neklasifikuojamas kitur (Larono tipo)	E34.3	<p>9.1. Skiria gydytojai vaikų endokrinologai arba endokrinologai, teikiantys tretinio lygio asmens sveikatos priežiūros paslaugas, jei paciento būklė atitinka visas šias sąlygas:</p> <p>9.1.1. vaiko ūgis atsilieka pagal amžių ir lytį daugiau kaip 3 standartinio nuokrypio (SN) dydžiais, palyginti su vidurkiu;</p> <p>9.1.2. yra pakankama augimo hormono sekrecija (daugiau nei 20 mU/l), nustatoma dviem augimo hormono stimuliavimo mėginiais;</p> <p>9.1.3. į žmogaus insuliną panašaus augimo faktoriaus (IGF-1) koncentracija kraujyje yra mažesnė nei 2 SN dydžiai.</p> <p>9.2. Skiriama pradinė vaistinio preparato dozė – po 0,04 mg/kg du kartus per parą. Palaipsniui kas savaitę dozė didinama, skiriant po 0,04 mg/kg du kartus per parą, kol pasiekama didžiausia paros dozė – 0,12 mg/kg du kartus per parą.</p> <p>9.3. Gydymas mekaserminu laikomas efektyviu, jei augimo greitis (cm per metus) per pirmuosius gydymo metus padidėja 30 procentų.</p> <p>9.4. Gydymas mekaserminu nutraukiamas, jei:</p> <p>9.4.1. kaulų augimo zonos yra užsivėrusios – tai patvirtinama plaštakos rentgenograma (apie 15–17 vaiko augimo metus);</p> <p>9.4.2. vaiko augimo greitis yra mažesnis nei 3 cm per metus.</p>

Pastabos:

\* ATC kodas – vaistinio preparato grupės pavadinimo kodas pagal ATC (anatominę-terapinę-cheminę) vaistų klasifikaciją.

\*\* TLK-10-AM kodas – ligos kodas pagal Tarptautinės statistinės ligų ir susijusių sveikatos sutrikimų klasifikacijos dešimtąjį pataisytą ir papildytą leidimą „Sisteminis ligų sąrašas“ (Australijos modifikacija, TLK-10-AM), patvirtintą Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2011 m. vasario 23 d. įsakymu Nr. V-164 „Dėl Tarptautinės statistinės ligų ir sveikatos sutrikimų klasifikacijos dešimtojo pataisyto ir papildyto leidimo „Sisteminis ligų sąrašas“ (Australijos modifikacija, TLK-10-AM) įdiegimo“.