

Everolimus terapijas uzsākšanas un atcelšanas kritēriji pacientiem ar tuberozo sklerozi

Everolimus ir selektīvs mTOR (rapamicīna mērķa receptors zīdītājiem) inhibitors. mTOR ir galvenā serīna-tirozīna proteīnkināze, kuras aktivitāte pacientiem ar tuberozās sklerozes kompleksu ir paaugstināta, kas veicina audzēju veidošanos. *Everolimus* efektivitāte apliecināta klīniskajos pētījumos. Starptautiski atzītās vadlīnijās un klīniskajās rekomendācijās šis medikaments atzīts par efektīvāko pirmās izvēles preparātu pacientiem ar tuberozo sklerozi ar asimptomātiskām, augošām nieru angiomiolipomām izmērā virs 3 cm diametrā.

Nozīmēšanas nosacījumi

1. Asimptomātiskas, augošas nieru angiomiolipomas izmērā virs 3 cm diametrā.
2. Pacients ir līdzestīgs un sadarbojas ar ārstējošo ārstu regulārai novērošanai:
 - a. regulāra blakusparādību izvērtēšana;
 - b. arteriālā asinsspiediena kontrole;
 - c. regulāra kontroles asins analīžu, radioloģisko izmeklējumu veikšana.

Atcelšanas kritēriji

1. nav efekta (angiomiolipomu palielināšanās pēc 6 mēnešu terapijas);
2. progresējoša GFĀ pasliktināšanās <30 mL/min vai proteinūrija >3 g/L, neraugoties uz devas korekciju;
3. nepieļaujamas blakusparādības, neraugoties uz devas samazināšanu.

Literatūra

1. Tuberous sclerosis complex surveillance and management: recommendations of the 2012 International Tuberous Sclerosis Complex Consensus Conference. *Pediatr Neurol.* 2013 Oct;49(4):255-65.
2. Bissler et al. Everolimus for angiomyolipoma associated with tuberous sclerosis complex or sporadic lymphangiomyomatosis (EXIST-2): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled trial. *Lancet.* 2013;381(9869):817.
3. Bissler et al. Everolimus long-term use in patients with tuberous sclerosis complex: Four-year update of the EXIST-2 study. *PLoS One.* 2017 Aug 9;12(8):e0180939.
4. Davies et al. Management of everolimus-associated adverse events in patients with tuberous sclerosis complex: a practical guide. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2017) 12:35. DOI 10.1186/s13023-017-0581-9.

Izstrādāti 26.03.2019.