

**Προς
τους Αξιότιμους**

κα Χρ. Παπανικολάου, Γενική Γραμματέα Δημόσιας Υγείας
κα Ζ. Δέδε, Πρόεδρο Επιτροπής Τιμών Φαρμάκων
κ. Ν. Καραπάνο, Διευθυντή Διεύθυνσης Φαρμάκων και Φαρμακείων

Κοιν.: κ. Ανδ. Λυκουρέντζο, Υπουργό Υγείας
κ. Μ. Σαλμά, Αναπληρωτή Υπουργό Υγείας
κ. Ι. Τούντα, Πρόεδρο ΕΟΦ
κα Μ. Σκουρολιάκου, Α΄ Αντιπρόεδρο ΕΟΦ
κ. Π. Βασιλάκη, Β΄ Αντιπρόεδρο ΕΟΦ

Χαλάνδρι, 6 Σεπτεμβρίου 2012

**Θέμα: Επιταχυνόμενη διαδικασία έγκρισης τιμής για συγκεκριμένα
φαρμακευτικά προϊόντα και άμεση ενσωμάτωσή τους στο
επόμενο Δελτίο Τιμών Φαρμάκων του Σεπτεμβρίου 2012 –
Άμεση αποζημίωση από τους Φορείς Κοινωνικής Ασφάλισης**

Αξιότιμοι κύριοι,

**Είναι αναγκαία η άμεση έγκριση τιμής και η ενσωμάτωση συγκεκριμένων
φαρμακευτικών προϊόντων στο επόμενο Δελτίο Τιμών του Σεπτεμβρίου
2012, καθώς και η άμεση αποζημίωσή τους από τους Φορείς Κοινωνικής
Ασφάλισης, προκειμένου να έχουν πρόσβαση οι ασθενείς σε σημαντικά
και καινοτόμα φάρμακα που είναι απαραίτητα για τη θεραπεία σπάνιων και
απειλητικών για τη ζωή ασθενειών.**

Οι αιτήσεις τιμής για τα συγκεκριμένα φαρμακευτικά προϊόντα εκκρεμούν για σημαντικό χρονικό διάστημα (περισσότερο από 1 έτος) και σχετικά αιτήματα για άμεση ανάγκη τιμολόγησής τους έχουν τεθεί επανειλημμένα προς το Υπουργείο Υγείας και Κοινωνικής Αλληλεγγύης από την ιατρική κοινότητα, τις ενώσεις ασθενών καθώς και τις εταιρίες που αντιπροσωπεύουν τα φάρμακα αυτά στην Ελλάδα. Τα φαρμακευτικά αυτά προϊόντα πληρούν **δύο** συγκεκριμένα και αντικειμενικά κριτήρια:

- 1. Επιταχυνόμενη διαδικασία αξιολόγησης και έγκρισης από τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων (EMA).** Η διαδικασία επιταχυνόμενης αξιολόγησης προβλέπεται από τον EMA σε περιπτώσεις φαρμακευτικών ιδιοσκευασμάτων που παρουσιάζουν αποδεδειγμένα σημαντικό όφελος για τη Δημόσια Υγεία, αποτελούν σημαντική θεραπευτική καινοτομία¹ και

¹ Guideline on the procedure for Accelerated Assessment pursuant to Article 14(9) of Regulation (EC) No 726/2004

αποσκοπεί στην άμεση κυκλοφορία των προϊόντων αυτών . Ο Εθνικός Οργανισμός Φαρμάκων έχει ήδη εκδόσει σχετική βεβαίωση, η οποία πιστοποιεί την επιταχυνόμενη αυτή διαδικασία.

2. Ορφανά φάρμακα για τη θεραπεία/αντιμετώπιση σπανίων παθήσεων. Τα ορφανά φάρμακα προορίζονται για την αντιμετώπιση σπάνιων, χρόνιων, εκφυλιστικών και απειλητικών για τη ζωή ασθενειών (σπάνιες παθήσεις με επιπολασμό στην Ευρωπαϊκή Ένωση χαμηλότερο από 5 νοσούντες ανά 10.000 άτομα). Ως «ορφανά φάρμακα» στην Ευρωπαϊκή Ένωση, αναγνωρίζονται εκείνα τα φαρμακευτικά ιδιοσκευάσματα που πληρούν τις προϋποθέσεις των Ευρωπαϊκών Κανονισμών (Ε.Κ.) 141/2000 και 847/2000 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου. Όλα τα «Ορφανά Φάρμακα» είναι εγγεγραμμένα στο Κοινοτικό Μητρώο Ορφανών, το οποίο ελέγχεται και ανανεώνεται από τον EMA. Η χορήγηση ορφανών φαρμάκων σε αυτές τις κατηγορίες ασθενών, βελτιώνει το προσδόκιμο επιβίωσης τους και αποτελεί τη μοναδική τους ελπίδα για αξιοπρεπή ποιότητα ζωής.

Τα φαρμακευτικά προϊόντα που πληρούν τα παραπάνω κριτήρια είναι τα ακόλουθα:

No.	Φαρμακευτικό προϊόν	Δραστική	Ασθένεια	Κριτήριο	Εκτιμώμενος Αριθμός ασθενών (ετήσια βάση)
1	Victrelis	Boceprevir	Ηπατίτιδα C	Επιταχυνόμενη έγκριση EMA	120
2	Incivo	Telaprevir	Ηπατίτιδα C	Επιταχυνόμενη έγκριση EMA	120
3	Zytiga	Abiraterone acetate	Καρκίνος του προστάτη σε ενήλικες άνδρες των οποίων η νόσος έχει εξελιχθεί κατά τη διάρκεια ή μετά από θεραπεία με χημειοθεραπευτικό σχήμα που περιέχει δοσεταξέλη	Επιταχυνόμενη έγκριση EMA	280
4	VPRIV	Velaglucerase alfa	Νόσος Gaucher	Ορφανό / Επιταχυνόμενη έγκριση EMA	10
5	Tasigna	Nilotinib	Χρόνια Μυελογενής	Ορφανό	Νέα περιεκτικότητα

No.	Φαρμακευτικό προϊόν	Δραστική	Ασθένεια	Κριτήριο	Εκτιμώμενος Αριθμός ασθενών (ετήσια βάση)
			Λευχαιμία		
6	Signifor	Pasireotide	Νόσος Cushing	Ορφανό	20
7	Votubia	Everolimus	Οζώδης Σκλήρυνση	Ορφανό	30
8	Tobi Podhaler	Tobramycin	Κυστική Ίνωση	Ορφανό	Νέα φαρμακοτεχνική μορφή
9	Sprycel	Dasatinib	Θεραπεία Καρκίνου	Ορφανό	Νέα περιεκτικότητα
10	Revatio IV	Sildenafil	Πνευμονική Αρτηριακή Υπέρταση	Ορφανό	20
11	Vindapel	Tafamidis	Αμυλοειδωση	Ορφανό	12
12	Tepadina	Thiotepa	Αγωγή προετοιμασίας πριν από τη μεταμόσχευση αιμοποιητικών προγονικών κυττάρων	Ορφανό	-

Είναι προφανές ότι η πιθανή αύξηση της δαπάνης από την εισαγωγή των παραπάνω φαρμακευτικών προϊόντων είναι αμελητέα δεδομένου ότι απευθύνονται στη **θεραπεία περιορισμένου αριθμού ασθενών** (περίπου **600 σε ετήσια βάση**) και αντισταθμίζεται -σε μεγάλο βαθμό- από το κόστος χρήσης μη ενδεδειγμένων θεραπειών και δευτεροβάθμιας φροντίδας υγείας (π.χ νοσηλείες, διαγνωστικές εξετάσεις, ιατρική φροντίδα κλπ). Επιπρόσθετα μόνο τα 2/3 από τα ως άνω σκευάσματα αφορούν νέες δραστικές ουσίες καθώς τα υπόλοιπα αφορούν βελτιωμένη ή νέα φαρμακοτεχνική μορφή (π.χ Tobi Podhaler, Revatio IV) ή πρόσθετη περιεκτικότητα (π.χ Sprycel 100mg, Tasigna 150mg) για την καλύτερη κάλυψη των αναγκών των ασθενών.

Ενδεικτικά αναφέρεται ότι η συνολική δαπάνη που υπολογίζεται ότι θα προκύψει για τους φορείς Κοινωνικής Ασφάλισης, από την αποζημίωση των παραπάνω φαρμακευτικών προϊόντων σε ετήσια βάση, ανέρχεται σε περίπου **12εκ. Ευρω**, αφού έχουν ήδη αφαιρεθεί οι επιστροφές προς τους φορείς κοινωνικής ασφάλισης (9%), οι εκπτώσεις πώλησης προς τα Δημόσια Νοσοκομεία/Φορείς Κοινωνικής Ασφάλισης κτλ. Επίσης σύμφωνα με τις εκτιμήσεις της Πανελλήνιας Ένωσης

Φαρμακοβιομηχανίας η ταυτόχρονη έγκριση τιμής σε περίπου 20 νέα γενοσήμα που αφορούν σε προϊόντα που μέχρι τώρα δεν είχαν γενόσημα στην αγορά μπορεί να οδηγήσει σε **εξοικονόμηση της φαρμακευτικής δαπάνης κατά περίπου 70-80 εκ. Ευρώ (με δεδομένη την επέκταση εφαρμογής της συνταγογράφησης με δραστική ουσία)**. Ενδεικτικά αναφέρεται ότι σύμφωνα με τους υπολογισμούς η εισαγωγή ενός και μόνο γενοσήμου στην κατηγορία των γαστρεντερικών, για φάρμακο που μέχρι τώρα δεν είχε γενόσημο, μπορεί να οδηγήσει σε εξοικονόμηση 30 εκ. Ευρώ.

Οι λόγοι που καθιστούν αναγκαία την **άμεση τιμολόγηση και αποζημίωση** των παραπάνω φαρμακευτικών προϊόντων είναι **η προστασία της Δημόσιας Υγείας και η κάλυψη θεραπευτικού κενού σχετικά με απειλητικές και σπάνιες για την ανθρώπινη ζωή ασθένειες. Τονίζεται η αδυναμία πρόσβασης των Ελλήνων ασθενών σε αυτές τις καινοτόμες θεραπείες για διάστημα μεγαλύτερο του ενός έτους.**

Παράλληλα, τα φαρμακευτικά αυτά προϊόντα χαρακτηρίζονται ως **απαραίτητα για την κάλυψη κινδύνου ζωής και καλύπτονται από τα διεθνή κλινικά πρωτόκολλα** (σχετική εξαίρεση για την αποζημίωση των προϊόντων που διαθέτουν αυτά τα χαρακτηριστικά περιλαμβάνεται στο ν.4052/2012, άρθρο 21). Πρόκειται συνεπώς για καινοτόμα φαρμακευτικά προϊόντα που θα πρέπει να ενταχθούν στον κατάλογο σοβαρών παθήσεων του ν.3816/2010, παρ. 2, άρθρο 12 και να ταξινομηθούν σε επίπεδο ATC 5 του θετικού καταλόγου συνταγογραφούμενων φαρμάκων.

Με βάση τα παραπάνω δεδομένα, παρακαλούμε για την άμεση έγκριση τιμής των παραπάνω φαρμακευτικών προϊόντων στο Δελτίο Τιμών του Σεπτεμβρίου και την άμεση αποζημίωσή τους από τους Φορείς Κοινωνικής Ασφάλισης, έτσι ώστε οι Έλληνες ασθενείς να αποκτήσουν πρόσβαση σε νέες καινοτόμες θεραπείες για την αντιμετώπιση απειλητικών και σπάνιων ασθενειών για την ανθρώπινη ζωή.

Με εκτίμηση,

Νικόλαος Κεφαλάς
Αντιπρόεδρος

Κωνσταντίνος Μ. Φρουζής
Πρόεδρος

ΠΑΡΑΡΤΗΜΑ

Επισυνάπτεται η σχετική ανακοίνωση του EMA², όπου τεκμηριώνονται οι λόγοι που οδήγησαν στην επιταχυνόμενη αξιολόγηση των φαρμακευτικών αυτών ιδιοσκευασμάτων. Ενδεικτικά στην ανακοίνωση αυτή αναφέρεται:

- **INCIVO (telaprevir):** Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε την αίτηση με επιταχυνόμενη διαδικασία, επειδή θεώρησε ότι, με γεγονός ότι το 70% των λοιμώξεων με ιό της ηπατίτιδας C στο Δυτικό κόσμο είναι γονότυπου 1, προκύπτει ένα σημαντικό όφελος για τη Δημόσια Υγεία με τη διάθεση αυτής της θεραπευτικής επιλογής στους ασθενείς.
- **ZYTIGA (abiraterone acetate):** Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε την αίτηση με επιταχυνόμενη διαδικασία, επειδή θεώρησε ότι η φτωχή πρόγνωση των ασθενών αυτών (με μεταστατικό ανθεκτικό στον ευνουχισμό καρκίνο του προστάτη, των οποίων η νόσος έχει εξελιχθεί κατά τη διάρκεια ή μετά από θεραπεία με χημειοθεραπευτικό σχήμα που περιέχει δοσεταξέλη) αντιπροσωπεύει μια υψηλής σημασίας ακάλυπτη ιατρική ανάγκη, ενώ ο καινοτόμος μηχανισμός δράσης της δραστικής ουσίας αμπιρατερόνης έχει τη δυνατότητα να προσφέρει μια εναλλακτική θεραπευτική επιλογή για αυτούς τους ασθενείς.
- **VICTRELIS (boceprevir):** Η Επιτροπή ακολούθησε επιταχυνόμενη αξιολόγηση για αυτό το φάρμακο, γιατί θεώρησε ότι η μποσεπρεβίρη μπορεί να απαντήσει σε μια ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη που παρέχει βελτιωμένη θεραπευτική επιλογή σε ασθενείς με χρόνια ηπατίτιδα C γονότυπου 1 που δεν έχουν λάβει προηγούμενη θεραπεία, καθώς και σε ασθενείς που έχουν λάβει προηγούμενη θεραπεία. Η μποσεπρεβίρη είναι το πρώτο σε μια νέα κατηγορία φαρμάκων για τη θεραπεία της χρόνιας ηπατίτιδας που αναστέλλει απευθείας την αναπαραγωγή του ιού της ηπατίτιδας C στα μολυσμένα με ιό της ηπατίτιδας C κύτταρα του ξενιστή.
- **VPRIV (velaglucerase alfa):** Ένα φάρμακο για την αντιμετώπιση της νόσου Gaucher. Η Επιτροπή πραγματοποίησε επιταχυνόμενη αξιολόγηση αυτού του φαρμάκου, λόγω σημαντικού λόγου Δημοσίας Υγείας. Ενώνει της έλλειψης φαρμάκων για την αντιμετώπιση της νόσου Gaucher, η CHMP θεώρησε ότι το Vpriv μπορεί να αποτελεί μια εναλλακτική θεραπεία γι'αυτή την ασθένεια.

² Meeting highlights from the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP), 18-21 July 2011

ΟΡΦΑΝΑ ΦΑΡΜΑΚΑ (απόσπασμα από την άδεια του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων)

- Το **Tasigna** χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με «χρόνια μυελογενή λευχαιμία» (ΧΜΛ), μια μορφή καρκίνου των λευκών αιμοσφαιρίων.

Το φάρμακο χρησιμοποιείται όταν ο ασθενής είναι «θετικός στο χρωμόσωμα Φιλαδελφείας» (Ph+), όπερ σημαίνει ότι ορισμένα από τα γονίδια του ασθενούς έχουν ανασυνδυασθεί κατά τρόπο ώστε να σχηματίσουν ένα ειδικό χρωμόσωμα καλούμενο «χρωμόσωμα Φιλαδελφείας». Το εν λόγω χρωμόσωμα παράγει ένα ένζυμο, που ονομάζεται «κινάση Bcr-Abl», το οποίο οδηγεί στην εμφάνιση λευχαιμίας.

Το Tasigna χρησιμοποιείται τόσο στη «χρόνια» όσο και στην «επιταχυνόμενη» φάση της ΧΜΛ, όταν άλλες θεραπείες, περιλαμβανομένης της ιματινίβης (άλλο αντικαρκινικό φάρμακο), δεν είναι ανεκτές από τους ασθενείς ή σε περιπτώσεις όπου η ασθένειά τους δεν ανταποκρίνεται σε αυτές. Δεν υπάρχουν στοιχεία για την αποτελεσματικότητά του επί ασθενών των οποίων η ασθένεια βρίσκεται σε «βλαστική κρίση» (άλλη φάση της ΧΜΛ).

Το Tasigna χορηγείται επίσης σε ασθενείς με νεοδιαγνωσθείσα ΧΜΛ στη χρόνια φάση.

Δεδομένου του μικρού αριθμού πασχόντων από ΧΜΛ, η ασθένεια θεωρείται «σπάνια», το δε Tasigna χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο χρησιμοποιούμενο σε σπάνιες ασθένειες) στις 22 Μαΐου 2006.

- Το **Signifor** χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων που πάσχουν από τη νόσο Cushing, στις περιπτώσεις που η χειρουργική επέμβαση έχει αποτύχει ή δεν αποτελεί επιλογή.

Η νόσος Cushing προκαλείται από όγκο στην υπόφυση (αδένας που βρίσκεται στη βάση του εγκεφάλου) η οποία εκκρίνει υπερβολική ποσότητα μιας ορμόνης που ονομάζεται ACTH. Η ορμόνη αυτή διεγείρει με τη σειρά της την παραγωγή υπερβολικής ποσότητας κορτιζόλης (ορμόνη γνωστή και ως ορμόνη του άγχους επειδή εκκρίνεται σε καταστάσεις άγχους).

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με νόσο Cushing και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Signifor χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 8 Οκτωβρίου 2009

- Το **Votubia** χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενός τύπου εγκεφαλικού όγκου που ονομάζεται «υποεπενδυματικό γιγαντοκυτταρικό αστροκύτωμα» (SEGA) σε ασθενείς με οζώδη σκλήρυνση.

Η οζώδης σκλήρυνση είναι γενετική νόσος που προκαλεί την ανάπτυξη καλοήθων (μη καρκινικών) όγκων σε διάφορα όργανα του σώματος, περιλαμβανομένου του εγκεφάλου.

Το *Votubia* χορηγείται σε ενήλικες και παιδιά ηλικίας τριών ετών και άνω, των οποίων ο όγκος δεν μπορεί να αφαιρεθεί χειρουργικά.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με οζώδη σκλήρυνση και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το *Votubia* χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 4 Αυγούστου 2010.

- Το **Tobi Podhaler** χρησιμοποιείται για την καταστολή της χρόνιας πνευμονικής λοίμωξης, η οποία προκαλείται από βακτήρια που ονομάζονται *Pseudomonas aeruginosa*, σε ενήλικες και παιδιά ηλικίας έξι ετών και άνω που πάσχουν από κυστική ίνωση.

Η κυστική ίνωση είναι μια κληρονομική νόσος η οποία προσβάλλει τα κύτταρα των πνευμόνων και τους αδένες του εντέρου και του παγκρέατος που παράγουν εκκρίσεις όπως βλέννα και γαστρικά υγρά. Η συσσώρευση της βλέννας στους πνεύμονες διευκολύνει την ανάπτυξη των βακτηρίων, γεγονός που προκαλεί λοιμώξεις, πνευμονική βλάβη και αναπνευστικά προβλήματα. Η βακτηριακή πνευμονική λοίμωξη από *P. aeruginosa* είναι συχνή σε ασθενείς με κυστική ίνωση.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με κυστική ίνωση και βακτηριακή πνευμονική λοίμωξη από *P. aeruginosa* και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το *Tobi Podhaler* χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 17 Μαρτίου 2003.

- Το **Sprycel** είναι αντικαρκινικό φάρμακο. Χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων που πάσχουν από τους ακόλουθους τύπους λευχαιμίας (καρκίνος των λευκών αιμοσφαιρίων):

Χρόνια μυελογενής λευχαιμία (ΧΜΛ) σε ασθενείς με νεοδιαγνωσθείσα «χρόνια φάση» οι οποίοι είναι «θετικοί στο χρωμόσωμα Φιλαδελφείας» (Ph+). Η ΧΜΛ είναι τύπος λευχαιμίας κατά την οποία τα κοκκιοκύτταρα (τύπος λευκών αιμοσφαιρίων) αρχίζουν να αναπτύσσονται ανεξέλεγκτα. Ph+ σημαίνει ότι ορισμένα από τα γονίδια του ασθενούς έχουν ανασυνδυαστεί κατά τρόπο ώστε

να σχηματίσουν ένα ειδικό χρωμόσωμα που ονομάζεται χρωμόσωμα Φιλαδέλφειας και παράγει το ένζυμο κινάση Bcr-Abl που προκαλεί την εμφάνιση λευχαιμίας.

ΧΜΛ σε φάση «χρόνια», «ταχέως εξελισσόμενη» και «βλαστική». Το Sprycel χορηγείται όταν οι λοιπές θεραπείες, στις οποίες περιλαμβάνεται και η ιματινίπη (άλλο αντικαρκινικό φάρμακο) δεν είναι ανεκτές από τους ασθενείς ή σε περιπτώσεις στις οποίες η ασθένειά τους δεν ανταποκρίνεται σε αυτές.

Rh+ οξεία λεμφοβλαστική λευχαιμία (ΟΛΛ), κατά την οποία τα λεμφοκύτταρα (άλλος τύπος λευκών αιμοσφαιρίων) πολλαπλασιάζονται με εξαιρετικά γρήγορο ρυθμό ή «λεμφοειδής βλαστική» ΧΜΛ. Το Sprycel χορηγείται όταν οι λοιπές θεραπείες δεν είναι ανεκτές από τους ασθενείς, ή όταν η ασθένειά τους δεν ανταποκρίνεται σε αυτές.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ΧΜΛ και ΟΛΛ και, άρα, της σπανιότητας των ασθενειών, το Sprycel χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 23 Δεκεμβρίου 2005.

- Το **Revatio** χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων και παιδιών ηλικίας ενός έως 17 ετών με πνευμονική αρτηριακή υπέρταση (ΠΑΥ: μη φυσιολογικά υψηλή πίεση αίματος στις αρτηρίες των πνευμόνων). Στους ενήλικες, το Revatio χορηγείται σε ασθενείς με ΠΑΥ κατηγορίας II (μικρός περιορισμός της σωματικής δραστηριότητας) ή κατηγορίας III (σημαντικός περιορισμός της σωματικής δραστηριότητας).

Το Revatio έχει αποδειχθεί ότι είναι αποτελεσματικό στη θεραπεία της ΠΑΥ αγνώστου αιτιολογίας σε ενήλικες και παιδιά, της ΠΑΥ που οφείλεται σε νοσήματα του συνδετικού ιστού σε ενήλικες και της ΠΑΥ που οφείλεται σε συγγενή (εκ γενετής) καρδιοπάθεια σε παιδιά.

Το ενέσιμο διάλυμα προορίζεται για ενήλικες οι οποίοι δεν μπορούν να λάβουν τα δισκία ή το πόσιμο εναιώρημα Revatio για μικρό χρονικό διάστημα, η κατάσταση των οποίων, όμως, είναι σταθερή.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ΠΑΥ και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Revatio χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 12 Δεκεμβρίου 2003.

- Το **Vyndaqel** ενδείκνυται για την επιβράδυνση της νευρολογικής δυσλειτουργίας που οφείλεται στην σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση, μια κληρονομική ασθένεια στην οποία ίνες, ονομαζόμενες αμυλοειδή, συσσωρεύονται σε ιστούς του σώματος, καθώς και γύρω από τα

Λ. Κηφισίας 280 & Αγρινίου 3, 152 32 ΧΑΛΑΝΔΡΙ, ΑΘΗΝΑ
ΤΗΛ. 210 6891101 - FAX 210 6891060

280, Kifissias Ave. & 3, Agriniou Str., GR 152 32 Halandri, ATHENS, GREECE
TEL (+30 210) 6891 101 FAX (+30 210) 6891060
e-mail: sfee@sfee.gr

νεύρα. Το *Vyndarel* χορηγείται σε ενήλικες ασθενείς με νευροπάθεια πρώιμου σταδίου (σταδίου 1).

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με σχετιζόμενη με τρανσθυρετίνη αμυλοείδωση και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το *Vyndarel* χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 28 Αυγούστου 2006.

• Το ***Teradina*** χρησιμοποιείται σε συνδυασμό με χημειοθεραπεία (φάρμακα για τη θεραπεία του καρκίνου) με δύο τρόπους:

- ως αγωγή προετοιμασίας πριν από μεταμόσχευση αιμοποιητικών προγονικών κυττάρων (τα κύτταρα που παράγουν ερυθρά αιμοσφαίρια). Στη συγκεκριμένη μέθοδο μεταμόσχευσης υποβάλλονται ασθενείς που χρειάζονται αντικατάσταση των αιμοποιητικών τους κυττάρων διότι πάσχουν από αιματολογική νόσο, όπως καρκίνο του αίματος (μεταξύ άλλων λευχαιμία), ή νόσους που προκαλούν χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων (μεταξύ άλλων η μεσογειακή αναιμία ή η δρεπανοκυτταρική αναιμία).
- στη θεραπεία συμπαγών όγκων όταν χρειάζεται υψηλή δόση χημειοθεραπείας συνοδευόμενη από μεταμόσχευση αιμοποιητικών προγονικών κυττάρων.

Το *Teradina* μπορεί να χρησιμοποιείται για μεταμόσχευση κυττάρων από δότη ή κυττάρων που προέρχονται από τον ίδιο τον ασθενή.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών στην Ευρωπαϊκή Ένωση (ΕΕ) που υποβάλλονται στο συγκεκριμένο είδος προετοιμασίας και μεταμόσχευσης, το *Teradina* χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 29 Ιανουαρίου 2007.