

## **Uwaga !!!**

**Ważna informacja dla pacjentów z SG oraz dla lekarzy opiekujących się tą grupą pacjentów :**

**Istnieje już w Polsce możliwość stosowania terapii lekowej Ewerolimusem (potocznie Rapamycyną) dla niektórych chorych ze Stwardnieniem Guzowatym !**

(Ewerolimus (Everolimus, RAD-001, ATC: L04 AA18, L01 XE10) – organiczny związek chemiczny, pochodna Rapamycyny (sirolimusu) o podobnym działaniu, opierającym się na inhibicji kinazy mTOR. Ewerolimus znajduje zastosowanie w transplantologii jako lek immunosupresyjny stosowany w zapobieganiu odrzucania przeszczepu).

Na skutek postępu medycyny w dziedzinie badań nad zastosowaniem Ewerolimusu w onkologii, w tym w guzach towarzyszących Stwardnieniu Guzowatemu, już zarejestrowane zostały 2 leki, na bazie Everolimusu, dostępne dla pacjentów z UE, w tym i dla pacjentów polskich.

Są to następujące leki :

**AFINITOR** - do leczenia raka jasnokomórkowego nerki.

W przypadku przekształcenia się łagodnej zmiany w zmianę złośliwą terapia jest dostępna również dla pacjentów z SG.

**VOTUBIA** - wyłącznie dla chorych na Stwardnienie Guzowate.

Kryteria dopuszczające możliwość zastosowania Votubii :

1. Lek Votubia stosuje się w leczeniu guza mózgu zwanego podwyściółkowym gwiaździakiem olbrzymiokomórkowym (ang. subependymal giant cell astrocytoma, SEGA) u pacjentów ze stwardnieniem guzowatym.

2. Lek Votubia stosuje się u dorosłych i dzieci w wieku co najmniej trzech lat, u których guza mózgu nie można usunąć operacyjnie.

Oba zarejestrowane preparaty zostały w Polsce przypisane do leczenia onkologicznego, w ramach chemioterapii niestandardowej.

Szczegółowe informacje o lekach.... <http://www.stwardnienie-guzowate.eu/download/2012-03-09%20-%20everolimus%20informacja%20o%20lekach.pdf>

Leczenie nieoperacyjnych guzów SEGA lekiem Votubia, dostępne w ramach chemioterapii niestandardowej, leży w gestii lekarzy onkologów-hematologów u dzieci i onkologów u dorosłych.

Pierwszych pacjentów (dzieci) na tej terapii lekowej ma Pani Prof. Danuta Perek, onkolog-hematolog, Kierownik Kliniki Onkologii Dziecięcej CZD w Warszawie (tel. Sekretariat (22) 815-11-65), oraz Pan Prof. Wojciech Młynarski, onkolog-hematolog dziecięcy z Uniwersytetu Medycznego w Łodzi.

Chore dzieci, spełniające kryteria do zastosowania terapii lekowej, mogą być kierowane lub zgłaszać się do wymienionych lekarzy, bądź do placówek onkologiczno—hematologicznych, w rejonie swojego miejsca zamieszkania.

Dorośli pacjenci powinni ubiegać się o terapię w placówkach onkologicznych dla dorosłych.

Pamiętajmy, że w Polsce nie ma wyspecjalizowanej kliniki SG dla naszych chorych, a lekarze z którymi mają kontakt nasi chorzy nie mają szerokiej wiedzy o chorobie, w tym o nowych możliwościach terapeutycznych.

Dlatego nadal na nas samych (chorych i opiekunach), spoczywa kwestia zainteresowania lekarza onkologa możliwością zastosowania terapii lekowej, w przypadku jeśli chory się na nią kwalifikuje. Żaden inny specjalista nie ma dostępu do stosowania chemioterapii niestandardowej lekiem Votubia, nawet jeśli jest lekarzem opiekującym się danym chorym. Może on natomiast skierować chorego do lekarza onkologa, jeśli przypuszcza, że jego pacjent może kwalifikować się do tego leczenia.

Jeśli wyniki badań wskazują, że Wasz chory może potencjalnie kwalifikować się do leczenia Votubią, kontaktujcie się z P. Prof. Danutą Perek z CZD w Warszawie lub z P. Prof. Wojciechem

Młynarskim z Uniwersytetu Medycznego w Łodzi, jeśli dotyczy to dziecka.

Potencjalni dorośli pacjenci nie mają na dziś konkretnego ośrodka. Jeśli otrzymamy nowe informacje, natychmiast zamieścimy je na stronie.

**Lekarzy i pacjentów zainteresowanych rozpoczęciem terapii lekowej prosimy o kontakt telefoniczny w sprawie szczegółów: Andrzej Chaberka - Gdynia (Prezes Zarządu Stowarzyszenia)..**

**e-mail adres: [andrzej.chaberka@wp.pl](mailto:andrzej.chaberka@wp.pl)**

**Dorota Lewczuk – Warszawa (V-ce Prezes Zarządu)**

**tel. kom. 607-067-642**

**e-mail adres: [lewczuk9@gmail.com](mailto:lewczuk9@gmail.com)**

Fakt, że obiecujące wyniki badań nad everoilmusem zainteresowały również rodzimych lekarzy onkologów, daje nam nadzieję na to, że środowisko lekarzy będzie coraz bardziej zainteresowane Stwardnieniem Guzowatym.

Votubia, mimo, że na dziś jest skierowana wyłącznie dla chorych z guzami mózgu, w ciągu kolejnych lat otrzyma rejestrację do leczenia guzów nerek i zmian płucnych. Pacjenci będą więc mogli być leczeni na wiele guzów jednym lekiem.

Dlatego też lekarz ordynujący lek, będzie musiał znać całość schorzenia, monitorować wszystkie objawy i ewentualne skutki uboczne.

Mamy nadzieję, że da to w Polsce początek spojrzenia na SG, jako na odrębną, konkretną wielonarządową chorobę na tle genetycznym, z kompleksem charakterystycznych objawów, tak jak widzi to cywilizowany Świat, gdzie Stwardnienie Guzowate (Tuberous Sclerosis) określa się już mianem Zespołu Stwardnienia Guzowatego – Tuberous Sclerosis Complex (w skrócie TSC).

Już tylko z taką nazwą choroby można się spotkać w literaturze zagranicznej.

Zarząd Stowarzyszenia