

RAVIMIKOMISJONI KOOSOLEKU PROTOKOLL

Toimumiskoht: Tervisekassa, ruum 401

12.06.2023 nr 6

Algus kell 15.00, lõpp kell 16.00

Juhatas: Ott Laius (Ravimiamet)
Võtsid osa: Erki Laidmäe (Tervisekassa)
Laura Viidik (Sotsiaalministeerium)
Kaja-Triin Laisaar (Tartu Ülikool)
Riina Laurimaa (Eesti Patsientide Liit)
Aleksandra Garkuša (Eesti Perearstide Selts)
Ulvi Tammer- Jäätes (Eesti Puuetega Inimeste Koda)
Protokollija: Marta Danilov (Tervisekassa)

Kõik ravimikomisjonis osalenud liikmed on huvid deklareerinud.

PÄEVAKORD:

1. Rimegepant (Lisa 1. Pfizer Luxembourg SARL Eesti filiaali taotlus ravimi **Vydura** lisamiseks Tervisekassa ravimite loetellu, Ravimiameti ja Tervisekassa arvamused, taotleja tagasiside);
2. Risdiplaam (Lisa 2. Roche Eesti OÜ taotlus ravimi **Evrysdi** väljakirjutamise tingimuste muutmiseks Tervisekassa ravimite loetelus, Ravimiameti ja Tervisekassa arvamused).

1. RIMEGEPANT

Taotlus: 75/90%, auraga või aurata migreeni akuutne ravi täiskasvanutel, kellel on ebaõnnestunud 2 või enam triptaanravi.

Taotluse hindamine RaKS kriteeriumide alusel

Isiku vajadus saada ravimit tulenevalt tervishoiuteenuse osutamisest:

Migreen on krooniline paroksüsmaalne neuroloogiline haigus, mis väljendub mõõduka kuni tõsise peavalu ja erinevate neuroloogiliste sümptomitena.

Uuringud on näidanud, et ligikaudu 80% migreeni põdevatest inimestest ei suuda hoo ajal normaalselt töötada ega funktsioneerida ja 69% vajab abi igapäevaste tegevuste puhul mediaan 9–10 päeva kolme kuu jooksul.

Migreen jaguneb ägedaks ning krooniliseks migreeniks. Seejuures loetakse migreen krooniliseks kui rohkem kui 3 kuu jooksul esineb patsiendil 15 peavalupäeva kuus, millest vähemalt 8 päeval on migreeni sümptomid.

2022.a triptaane ja mittesteroidseid põletikuvastaseid ravimeid (MSPVR) kasutanud patsientide hulga alusel hindab taotleja võimalikuks rimegepandi kasutajate hulgaks ... isikut ning et kasutajate arv suureneb ...% aastas. Kuna kasutatud triptaanide arv ning nende efektiivsus patsientidel ei ole teada, on patsientide hulga hinnang ebakindel.

Alternatiivne ravi:

2022. a avaldatud Eesti ravijuhend „Migreeni esmane diagnostika ja farmakoteraapia täiskasvanutel“ soovitab eelistada hooravis triptaani monoterapiat, ravi ebaõnnestumisel kaaluda ninasisest või nahaalust manustamisviisi või MSPVR-i või paratsetamooli monoterapiat. Patsiendil, kellel ei ole hooravi monoterapiat piisavat efekti andnud, soovitatakse polüteraapiana sumatriptaani ja naprokseeni või frovatriptaani ja deksketoprofeeni kombinatsiooni. Kui monoterapiat triptaaniga ei ole piisavat efekti andnud ja MSPVR on vastunäidustatud, tuleks kaaluda polüteraapias risatriptaani ja paratsetamooli kombinatsiooni.

Eestis on migreeni hooraviks Tervisekassa poolt 50% soodusmääruga kompenseeritud kaks triptaani (frovatriptaani, sumatriptaani) ja mittesteroidsed põletikuvastased ravimid (MSPVR, nt ibuprofeen, deksketoprofeen, ketoprofeen, naprokseen). Erandkorras on Tervisekassa kompenseerinud risatriptaani, zolmitriptaani ja flunarisiini kokku 9-le patsiendile.

Lisaks on kroonilise migreeni raviks Tervisekassa tervishoiuteenuste loetelus teenus „Botulismitoksiinravi planeerimine ja ravimi manustamine“ (teenusekood 6260) ning soodusravimite loetelus erinevaid ravimeid.

Ravimi tõendatud efektiivsus ja ohutus:

Kuna rimegepandile taotletakse soodustust patsientidele, kellel on 2 või rohkem triptaanravi ebaõnnestunud, aga ametlik näidustus ning algsed kliinilised uuringud on kõikidele ägeda migreeniga patsientidele, esitas taotleja täiendavalt meta-analüüsi, kus oli eraldi rühmana uuritud ka rimegepandi efektiivsust varasema triptaanravi ebaõnnestumisega patsientidel (Lipton *et al*, 2023).

Kirjeldatav meta-analüüs hõlmas 3 erineva uuringu tulemusi (NCT03235479, NCT03237845, NCT03461757). Kokku kaasas see 3507 patsienti, 1749 rimegepandi ning 1758 platseebo rühma.

1235 (35,2%) patsientidest oli ebaõnnestunud ravi vähemalt 1 triptaaniga (n=910 [25,9%]), 2 triptaaniga (n=325 [9,3%]) ning 2272 (64,8%) patsiendil ei olnud varasemalt ravi ebaõnnestunud (samaaegselt kasutas triptaane 595 [17,0%] patsienti ning varasema kasutuseta oli 1677 [47,8%]) patsienti.

Triptaanravi ebaõnnestumine defineeriti patsientide enda hinnangu alusel, kui nad olid lõpetanud triptaani kasutamise vähese efektiivsuse või talumatuse tõttu.

Patsientidel pidi olema 2 kuni 8 keskmist või rasket migreenijuhtu kuus, aga mitte rohkem kui 15 peavalupäeva kuus viimase 3 kuu jooksul. Esmane kaastulemusnäitaja oli valuvabadus ning kõige segavama sümptomi (näit fonofobia, fotofoobia, iiveldus) vabadus 2 tundi pärast ravimi manustamist.

Tulemused:

- patsientide rühmas, kellel oli 2 triptaanravi ebaõnnestunud, olid 2 tundi pärast rimegepandi võtmist valuvabad 20,0% patsientidest, platseebo rühmas 10,2% patsientidest, erinevus 9,8% (p=0,013);
- kõige häirivama sümptomi vabad olid 43,0% rimegepandi patsientidest ning 21,5 % platseebo patsientidest, erinevus 21,5% (p<0,001).
- kõikides alarühmades saavutas 2h pärast rimegepandi kasutamist valuvabaduse ligikaudu 20% patsientidest ning kõige häirivama sümptomi vabaduse 35-43% patsientidest;
- kõige väiksemad erinevused platseeboga olid patsientide alarühmas, kes ei olnud varasemalt triptaane kasutanud. Uurijate hinnangul võis olla see tingitud platseebo headest tulemustest, kuna patsientidel oli ootus, et ravim toimib, sõltumata, kas nad said uuringuravimit või platseebot.

- kõrvaltoimete esinemist kirjeldatud meta-analüüs ei kajastanud, kuid ägeda migreeni ravi ühekordse annuse 3. faasi uuringutes oli ravi ajal esinevate kõrvalnähtude üldine esinemissagedus madal (rimegepant 10,8%, platseebo 8,6%). See on suuresti tingitud ravi ajutisest iseloomust. Kõige sagedamini esines iiveldust (rimegepant 1,2%, platseebo 0,8%), millele järgnesid kuseteede infektsioonid (rimegepant 0,8%, platseebo 0,3%).

Ravimi kasutamise majanduslik põhjendus:

Ravimi müügiloo hoidja esitas Tervisekassale Markovi mudelil põhineva farmakoökonomilise analüüsi.

Mudeli ajahorisont on 20 aastat, see on esitatud Tervisekassa kuluperspektiivist ning kasutatud on tulude ja kulude 5% diskonteerimismäära.

Mudeli järgi kaasneb rimegepandi raviga rohkem QALY-sid (...) ja kõrgemad kulud kui BSC-ga (...), andes täiendkulu tõhusumääraks (ICER) ... eurot QALY kohta. Patsiendid võivad keskmiselt ... QALYt täiendkulu ... eurot juures.

Tervisekassa tähelepanekud:

- ajahorisondi pikkus – uuringu otseselt võrdelevad andmed on lühiajalised, need tulemused on modelleeritud väga pikale ajale (20 aastat), mis suurendab tulemuste ebakindlust. Migreen on krooniline haigus ning patsiendid võivad akuutset ravi vajada pika aja jooksul, kuid Tervisekassa leiab, et lisaks 20 aasta ajahorisondile võiks ravimi majandusliku hindamise juures olla vajalik ka 5- ja 10-aasta horisontide kasutamine. Kroonilise migreeni ravimite puhul on taotlejad varasemalt kasutanud majandusanalüüsides 5 – 10-aastaseid ajahorisonte;
- mudelis tervishoiuresursside kuludena välja toodud EMO kulud on hinnatud täpsemate andmete puudumisel vastavalt G diagnoosirühma (närvüsteemihaigused) keskmisele raviarve kulule 2022. a neuroloogia erialal (kulu 1331,44 €). Tervisekassa andmetel on 2022. a G43 diagnoosikoodiga (migreen) EMO kulu ca 250 €. Seega on TK hinnangul tervishoiuresursside kulud migreenihoo raviks ülehinnatud;
- taotleja on esitanud taotluse 75/90% soodustusele ning rakendanud seda ka mudelis (... €), kuid Tervisekassa leiab, et õigem oleks kasutada ravimi jaehinda (... €), mis peegeldab kogu ravimi maksumust. Sellest on Tervisekassa lähtunud ka varasemalt majandusanalüüsides hindamisel.

Kaasajastades andmed ning korrigeerides ravimi maksumust ning EMO kulusid, tõuseb täiendkulu tõhususe määr 5-aasta horisondi korral ... euronit QALY kohta, 10-aasta horisondi korral ... euronit QALY kohta ning 20-aasta ajahorisondi korral ... QALY.

Saavutamaks ICER/QALY 20 000 eurot, peaks mudeli põhjal ravimi jaehind jääma sõltuvalt ajahorisondist (5-10 aastat) vahemikku ... -... eurot, seega peaks hind langema ca ...%.

Potentsiaalne lisakulu:

	1. aasta	2. aasta	3. aasta
Patsientide arv	559	587	616
Rimegepanti osakaal	30%	50%	50%
Rimegepanti patsientide arv	168	293	308
Rimegepanti pakendite arv			
Rimegepanti jaemüük			

Patsientide hulga hinnang on ebakindel, kuna kasutatud triptaanide arv ja efektiivsus patsientidel ei ole teada. Lisaks ei ole prognoosi kaasatud parasetamooli kasutavad patsiendid. MSPV ravimite kasutamine võib vähesel määral mõjutada lisakulu, antud kulude hindamisel on lähtutud ainult rimegepandi kuludest.

Taotleja prognoosi järgi oleks lisakulu Tervisekassale (50% soodusmäära korral) esimesel aastal ca ... eurot ning kolmandal aastal ca ... eurot.

MLH tagasiside:

- Juhime tähelepanu, et Vydura 75mg N2 soodusravimite loetellu lisamine 50% soodusmääraga toob patsientidele kaasa ligi 25 euro suuruse omaosaluse, mis ei paranda hinnatundlikumatele patsientidele uue ravimi kättesaadavust. Seetõttu palume Tervisekassal positiivse otsuse korral kaaluda migreeniravimite kättesaadavuse parandamist ning rimegepandile 75% soodusmäära rakendamist. Migreen on krooniline haigus, mille korral võivad patsiendid vajada akuutset ravi pika aja jooksul.

Diskussioon

Komisjon arutles vajaduse ja ravimi efektiivsusandmete üle. Nenditi, et praegu on patsientidele kättesaadavad kaks triptaanide klassi kuuluvat toimeainet, mille juurde kombineeritakse ka erinevaid mittesteroidseid põletikuvastaseid ravimeid. Rimegepandi toimemehhanism on triptaanidest veidi erinev. Uuringus näidati, et rimegepandi efektiivsus ei sõltu sellest, mitu erinevat triptaani on enne proovitud. Komisjon tõdes, et rimegepandi efektiivsus ei olnud üheski patsientide segmendis siiski kuigi suur – võrreldes platseeboga sai u 10% rohkem patsiente ravimi toel valuvabaks. Samas on teada, et psühhiaatrias ning valuravi puhul näitab uuringutes platseebo üldjuhul väga head efekti. Kõrvaltoimeid eriti ei esinenud.

Komisjon arutles esitatud majandusanalüüsi üle. Ravimi efektiivsust kirjeldav uuring oli lühiajaline, aga kulusid ja tulusid on majandusanalüüsis prognoositud 20-aastase ajahorisondiga. Kuna ka kroonilise migreeni puhul on taotlejad lühemaid ajahorisonte kasutanud ning ei ole teada, millist kasu patsient rimegepandist 20 aasta möödudes saab, siis on komisjoni hinnangul kohane kasutada lühemat ajahorisonti. Komisjon toetab majandusanalüüsis kogu ravimi maksumuse arvestamist, sest esmalt on vaja aru saada, kas ravim on kulutõhus ja siis otsustada, kuidas kulud Tervisekassa ja patsiendi vahel peaksid jaotuma.

Arutleti, kas migreeni hooravi peaks olema hüvitatud kõrgema soodusmääraga kui 50%. Tegemist on küll ajutise ehk hooraviga, aga patsientidel on 8-15 hoogu kuus ehk tegemist on olemuselt siiski kroonilise haigusega. Seega peab komisjon põhjendatuks kehtestada rimegepandile 75% soodusmäär. Komisjon soovib Tervisekassal kalkuleerida, milline lisakulu kaasneb triptaanide soodusmäära tõstmisest ning võimalusel tõsta ka triptaanide soodusmäär 75%-ni.

Kokkuvõttes nentis komisjon, et vajadus täiendava ravivõimaluse järele on olemas. Ravimi efektiivsus ei ole küll ülemäära veenev, aga tegemist oleks täiendava ravivõimalusega patsientidel, kellel juba mitu rida ravimeid on proovitud. Komisjon toetab taotluse rahuldamist, kui arvestades ravimi jaehinda jääb 10-a ajahorisondi juures kulutõhusus 20 000 EUR/QALY piiresse.

Komisjoni arvamus (ühehäälnel)

Komisjon soovib Tervisekassa juhatusel taotluse rimegepandi rahastamiseks 75% soodusmääraga auraga või aurata migreeni akuutseks raviks täiskasvanutel, kellel on ebaõnnestunud 2 või enam triptaanravi, rahuldada tingimusel, et kalkulatsioonides ravimi jaehinda arvestades jääb 10-a ajahorisondi juures kulutõhusus 20 000 EUR/QALY piiresse. Ühtlasi soovib komisjon lisada (akuutse)

migreeni 75% soodusmääraga hüvitatavate haiguste loetellu ning tõsta ka triptaanide soodusmäär migreeni näidustusel 75%-ni.

2. RISDIPLAAM

Taotlus: 100%, 5q spinaalse lihasatroofiaga (SMA, G12.0 ja G12.1) täiskasvanud patsientidele, kellel on I, II või III tüüpi SMA kliiniline diagnoos või üks kuni neli SMN2 koopiat ning lastele, kellel on neli SMN2 koopiat.

Risdiplaaam on alates 01.01.2022 Tervisekassa ravimite loetelu kaudu kättesaadav *geneetiliselt kinnitatud 5q spinaalse lihasatroofia (G12.0, G12.1) raviks patsiendile, kellel on määratud kuni 3 SMN2 geenikoopiat ja diagnoositud I, II või III tüüpi SMA ning kes on ravi alustamisel alla 19-aastane ning ei vaja püsiventilatsiooni. Ravi alustamise ja lõpetamise otsuse on langetanud arstide eksperdikomisjon (kaks lasteneuroloogi ja geneetik) ning patsient on SMA ravimise kogemusega lasteneuroloogi või neuroloogi jälgimisel. Ravivastuse hindamine toimub iga kolme kuu tagant. Ravi lõpetatakse püsiventilatsiooni vajaduse tekkel või kui ilmneb mootorsete funktsioonide kliiniliselt oluline halvenemine mõõdetuna mootorsete funktsioonide hindamise skaalal (I tüüpi korral HINE-2 või CHOP-INTEND ning II-III tüüpi korral MFM32, RULM või HFMSE alusel).*

Taotluse hindamine RaKS kriteeriumide alusel

Isiku vajadus saada ravimit tulenevalt tervishoiuteenuse osutamisest:

SMA võib avalduda väga erinevas raskusastmes. Täiskasvanuikka jõudnud patsientide elukvaliteet võib olla sõltuvalt haiguse raskusest oluliselt langenud. Lihasnõrkus võib viia raskusteni kõndimisel ning patsiendid võivad vajada liikumiseks ratastooli. Samuti võivad patsientidel haiguse käigus olla tekkinud jäsemete deformatsioonid, kontraktuurid ja skolioos, mis täiendavalt halvendavad funktsionaalset seisundit. Progresseeruv lihasnõrkus võib sõltuvalt haiguse raskusest hakata mõjutama ka hingamis- ja neelamisfunktsiooni.

Sümptomaatiliste patsientide klassifitseerimisel on määravaks vanus sümptomite avaldumisel, haiguse kestvus, sümptomite raskus ja saavutatud motoorne funktsioon. Üldiselt on sümptomite avaldumine ja SMA raskusaste korrelatsioonis SMN2 geeni koopiade arvuga.

Keskmine haigestumus kõigi SMA tüüpide kohta kokku on ca 8 juhtu 100 000 elussünni kohta. Seega võiks Eestis hinnanguliselt sündida igal aastal 1-2 last, kellel diagnoositakse SMA.

Taotleja konsulteeris patsientide arvu küsimuses kõigi täiskasvanud neuroloogilisi patsiente ravivate keskuste ja TÜ kliinilise geneetika keskusega. Nende andmetele tuginedes väidab taotleja, et täiendavalt vajaks risdiplaaami kuni 10 patsienti.

Alternatiivne ravi:

Eestis ei ole täiskasvanud patsientidele ega täiskasvanutele/lastele, kellel on 4 geenikoopiat, rahastatud ühtegi SMA patogeneesi mõjutavat ravimit.

Senine parim toetav ravi on sümptomaatiline patsiendipõhine multidistsiplinaarne ravi: hingamisfunktsiooni toetamine, toitumise abi, skolioosi ja kontraktuuride kirurgiline ja mittekirurgiline ravi, ortopeedilised abivahendid, funktsioone säilitav füsioteraapia ning mitmed teised toetavad meetmed.

Ravimi tõendatud efektiivsus ja ohutus:

Võrreldes SMA-ga lastega on andmeid risdiplaami kasutamise kohta täiskasvanud patsientidel oluliselt vähem.

Andmed pärinevad kliinilistest uuringutest SUNFISH ja JEWELFISH, kuhu oli mh kaasatud ka täiskasvanud patsiente, ning publitseeritud päriselu andmetest.

SUNFISH uuringu 2. osa alagruppide andmete analüüsi kaasatud patsientidest 22 olid 18-25-aastased (14 risdiplaami ja 8 platseebo grupis). Patsiendid ei kõndinud, neil oli II või III tüüpi SMA. 4 SMN2 koopiaga patsiente oli kokku 18 (10 risdiplaami ja 8 platseebo grupis). Esitatud andmete põhjal ei saavutanud risdiplaam kasutatud mootorsete funktsioonide hindamise skaalade (MFM3217, RULM18 ja HFMSE19) osas kummaski sihtgrupis platseebo grupiga võrreldes statistiliselt olulist erinevust.

RA:

Risdiplaamravi efektiivsust täiskasvanud ja 4 SMN2 koopiaga patsientide hulgas on kirjeldatud SUNFISH uuringu 2. osa alagruppide andmete analüüsimisel. Antud alagruppide osas ei ole uuringu võimsus piisav, et hinnata risdiplaamravi efektiivsust võrreldes platseeboga.

Esitatud alagrupi andmete põhjal ei ole risdiplaamravi efektiivsuses valitud mõõdikute osas (MFM32, RULM, HFMSE) täiskasvanud patsientide ja 4 SMN2 koopiaga patsientide alagruppides platseebo grupiga võrreldes statistiliselt olulist erinevust. Seega on risdiplaami objektiivset kliinilist kasu keerukas hinnata.

Samas nõustub Ravimiamet, et antud haiguse ravi efektiivsuse hindamine teatud alagruppides on objektiivsetel põhjustel (patsientide väike arv, ebakindlus sobivate efektiivsuse hindamise mõõdikute ja/või biomarkerite kasutamise osas) keerukas.

Seni tehtud uuringutes on kõrvaltoimed olnud talutavad, sagedasemad kõrvaltoimed olid SUNFISH uuringu 2. osas ülemiste hingamisteede infektsioon, nasofarüngiit, palavik, peavalu ja kõhulahtisus; rohkem kui platseebo grupis esines palavikku, kõhulahtisust, löövet, suu jm aftoosseid haavandeid, urotrakti infektsioone, artralgiat. Täiskasvanud patsientide juhuseeriates on kõrvaltoimena kirjeldatud fotosensitisatsiooni.

Samas on SMA loomuliku kulu uuringutes näidatud, et täiskasvanud patsientide haiguse progressioon on aeglane. Seetõttu võib haiguse progressiooni mõju täiskasvanud patsientide pikaajalisele funktsionaalsele võimekusele olla nii kliinilistes kui haiguse loomuliku kulu uuringutes alahinnatud. Sõltuvalt haiguse tüübist ei pruugi täiskasvanuikka jõudnud patsientide oodatav eluiga olla oluliselt vähenenud, mis tähendab, et patsiendid elavad haigusega aastakümneid ning selle aja jooksul võib ka haiguse aeglane progressioon põhjustada olulist funktsionaalse võimekuse langust. Samuti ei pruugi olla 3 ja 4 SMN2 koopiaga patsientide haiguse kulg üksteisest kardinaalselt erinev ning täpse vanuselise ülempiiri seadmine on keerukas, sest ravi efektiivsus erinevates alarühmades on põhjalikult kirjeldamata ning haiguse loomulik kulg varieeruv.

Ravimi kasutamise majanduslik põhjendus:

Taotleja selgituste kohaselt puuduvad toetava ravi kulude kohta Eestis piisavad andmed, mistõttu pole võimalik hinnata risdiplaami kulutõhusust Eesti kontekstis.

Hetkel kehtiva lepingu kohaselt maksab patsiendi ... aasta ravi kuni ... € kokku, keskmiselt ... eurot aastas.

Taotleja on esitanud sihtgrupi laiendamise korral pakkumise, mis teeks ... aasta ravi maksumuseks Tervisekassale kokku ... € ehk ... aasta keskmisena aastas ... €.

Sisuliselt on täiskasvanu ja/või nelja geenikoopiaga patsiendi ravi aastas Tervisekassale ... € kallim ning ... aasta arvestuses ... € kallim.

Potentsiaalne lisakulu:

Järgneval kolmel aastal on lisakulaks Tervisekassa eelarvele ... eurot, neljandal aastal ... eurot ning viiendal aastal oleks lisakulu ... €.

MLH täiendav pakkumine:

MLH on menetluse käigus teinud ettepaneku senist rahastusskeemi muuta. Muudetud rahastusskeemi korral muutuks ravi maksumus Tervisekassale oluliselt soodsamaks ..., samuti muutuks nende patsientide ravi ..., kes praktikas ei püsi ravil vähemalt Ei ole täit kindlust, et kõigi patsientide ravi nii pikalt kestab.

Täna ravil olevate patsientide (... tk) rahastusskeemi muutus oleks ... lisakuluga (ca ... €).

Kui laiendada ravi patsientidele, kellel on kuni 4 SMN2 geenikoopiat ja diagnoositud I, II või III tüüpi SMA ning kes on ravi alustamisel alla 26-aastane ning ei vaja püsiventilatsiooni, siis lisanduks teadaolevalt ravile 3 patsienti.

Hinnapakumise kohaselt maksaks ühe lisanduva patsiendi aastane ravi ... €, seega kolme patsiendi lisakulu eelarvele oleks ... €.

Kui arvestada lisaks, et järgnevatel aastatel lisanduks ravile veel 2 vastsündinut, siis kokkuvõttes oleks 20 patsiendi (15 olemasolevat, 3 lisandunud sihtgrupi laiendusest, 2 vastsündinud) ... keskmine ravimaksumus ... € ehk ... praegu kehtivaga.

Diskussioon

Komisjon arutles ravimi efektiivsuse üle taotletud segmendis. Nenditi, et kuna täiskasvanud patsientidel on haiguse progressioon aeglane, siis peaks uuringu jälgimisaeg olema väga pikk, et saada aru, millist kasu ravim annab. Alagruppide andmete analüüsi kaasatud patsientidel ei näidanud risdiplaam platseebo grupiga võrreldes statistiliselt olulist erinevust, sest uuring ei olnud selleks piisava võimsusega. Komisjon tõdes, et kui siiski vaadata kogu kliinilisse uuringusse kaastaud patsientide sihtrühma (mitte ainult vanuses 18-25 patsiente) tulemusi, siis seal on ravimi efekt tõendatud. Komisjon nentis, et vanuselise piiri tõstmine on võrdse kohtlemise aspektist oluline, samas tuleb kuskile piir seada ning komisjon peab õigeaks lähtuda uuringusse kaasatud patsientide sihtrühmast ehk patsientidest, kes on ravi alustamisel alla 26-aastased. Ka Kanadas on lähtuvalt uuringust sarnane vanusepiirang kehtestatud.

Kokkuvõttes toetab komisjon risdiplaami rahastuse laiendamist patsientidele, kellel on kuni 4 SMN2 geenikoopiat ja diagnoositud I, II või III tüüpi SMA ning kes on ravi alustamisel alla 26-aastane ning ei vaja püsiventilatsiooni.

Komisjoni arvamus (ühehäälnel)

Komisjon soovib Tervisekassa juhatusel taotluse risdiplaami hüvitamistingimuste laiendamiseks patsientidele, kellel on kuni 4 SMN2 geenikoopiat ja diagnoositud I, II või III tüüpi SMA ning kes on ravi alustamisel alla 26-aastane ning ei vaja püsiventilatsiooni, rahuldada.

Ott Laius

Juhataja

Marta Danilov

Protokollija