

HAIGLARAVIMITE KOMISJONI KOOSOLEKU PROTOKOLL

Toimumiskoht: Eesti Haigekassa, ruum 413

16.10.2019 nr 4

Algus kell 13.00, lõpp kell 13.40

Juhatas: Alar Irs (Ravimiamet, telefonikonverents)
Võtsid osa: Lembi Aug (Eesti Arstide Liit)
Kaja-Triin Laisaar (Tartu Ülikool, telefonikonverents)
Erki Laidmäe (Eesti Haigekassa)
Eda Lopato (Sotsiaalministeerium)
Marko Ölluk (Eesti Perearstide Selts)
Ulvi Tammer-Jäätes (Eesti Puuetega Inimeste Koda)
Kadri Tammepuu (Eesti Patsientide Liit)
Kutsutud: Ott Laius (Ravimiamet)
Protokollija: Marta Danilov (Eesti Haigekassa)

Kõik haiglaravimite komisjonis osalenud liikmed on huvid deklareerinud.

PÄEVAKORD:

1. 5q spinaalse lihaskatroofia ravikuur nusinerseeniga (Lisa 1. erialaspetsialisti tagasiside, 22.08.2019 haiglaravimite komisjoni koosoleku protokoll).

1. NUSINERSEEN

Jätk 22.08.2019 haiglaravimite komisjoni arutelule.

Erialaeksperdi vastused:

SMA III tüübi puhul A ja B alatüübi eristamisest: tüüpide kliiniline erinevus avaldub haigestumise vanuses: 3A tüüp haigestub alla 3-aastasest vanuses, 3B tavaline haigestumise aeg on 3. ja 10. eluaasta vahel. Pikas perspektiivis on võimalik tüüpe eristada haiguse kulu raskuse järgi, kuid selline eristamine jääb liialt subjektiivseks. Väljapakutud kriteerium (patsient peab olema ravi alustamisel alla 18 eluaasta vana ja sümptomid peavad olema avaldunud enne 3. eluaastat) välistab seega 3B tüübiga patsiendi ravimise. Statistiliselt usaldusväärset patsientide arvu muutust esile tuua ei saa, hinnanguliselt väheneks 3B patsientide välistamine patsientide arvu ühe võrra 5 või enama aasta kohta.

Hingamisfunktsiooni lävendist: lävendi määramine ainult numbrilise lävendi alusel oleks väär, seda enam on 95 vs 96 % SpO2 piiri määramine erinevatel SMA vormidel määramisvea võimaluse tõttu mittekohane. Oluliselt informatiivsem on hingamispuude olemasolu ja CPAP, abistava, täismehhaanilise ventilatsiooni vajaduse kompleksne kliiniline ja laboratoorne hindamine. St hingamisabi vajadus välistab patsiendi ravi nusinerseeniga ja selle abi vajaduse tekkimine ravi ajal välistab ravi jätkamise.

Efekti hindamise vajadusest - kas peale esmast efekti hindamist 6. doosi järel võiks raviefekti hinnata sagedamini kui iga 12 kuu järel (nt Norras hinnatakse raviefekti iga 4 kuu järel): Jätkuhindamine 6. doosi järel võiks toimuda 6-kuulise intervalliga.

SHINE uuringu tulemuste tõlgendamisest: Mõlema testi (RULM ja HFMSE) puhul on tegu kompleksse testiga, mille alusel täpselt hinnata konkreetset funktsiooni ega toimetuleku astet ei saa. Suurem

numbriline skoor näitab ka paremat funktsionaalset võimekust. Samas on mõlemad testid easpetsiifilised, st normaalne skoor 1- ja 5- aastasel lapsel on erinev. Hinnangu andmisel on tähtis dünaamika, mitte konkreetne arv. Kindlasti oleks hinnangu andmisel raviefektile vajalik ka patsiendi suutlikkuse ja selle dünaamika sõnaline kirjeldus.

Diskussioon

Komisjon tuletas meelde eelmisel korral arutatut ning vaatas uuesti üle taotlusega seotud kliinilised ja majanduslikud andmed. Varasematel aruteludel on komisjonile enim muret teinud see, et ei ole teada, milline on ravimi pikaajaline toime. Eelmisel koosolekul nenditi, et nusinerseen-ravi patsiente terveks ei tee. Ravim küll pikendab elu ja tõstab mõnevõrra patsiendi motoorseid võimeid, aga pole teada, mis ravitud lastest edasi saab – kas efekt jääb püsima ja millises seisus need lapsed võrreldes eakaaslastega on.

Komisjon tõdes, et 57% patsientidest saavutasid uuringus vähemalt 3-punktilise paranemise HFMSE skaalal. Ei ole teada, kuidas väljendub skoori paranemine patsientide elukvaliteedis. MLH esitatud pikemaajalisest uuringust (SHINE) jääb mulje, et ravimi pikemal kasutamisel teatud tasemest alates skoori tulemused enam ei parane. Komisjon arutles ravimi ohutuse üle. Väga sagedase kõrvaltoimena on kirjeldatud pea- ja seljavalusid, mis on tõenäoselt tingitud lumbaalpunktsioonist (LP), samuti oksendamist, mida võib ka LP-ga seostada ja esineb kõige sagedamini esimese 5 päeva jooksul. Raskeid kõrvaltoimeid ja tüsistusi pole ravimiga registreeritud.

Varasemalt on komisjon lähtunud sellest, et väga harva esinevate haiguste korral ei tohiks ühe patsiendi aastane ravi maksta üle 300 000 euro. Sellistel puhkudel on tegemist olnud paari patsiendi raviga. Antud juhul võib olenevalt kehtestatavatest piirangutest olla patsiente 9-15. Tootjaga läbirääkimised ravimi hinna osas ei ole andnud tulemusi, mis piisavalt maandaks ravi mittetoimise ning liigsuure eelarvemõju riski. Eelarvemõju on minimaalselt paar miljonit eurot aastas. Komisjon arutles, et kui sellise eelarvemõjuga ravimeid rahastada, siis ollakse varsti olukorras, kus väga väike hulk ravimeid hõlmaks liigsuure osa kogu ravimite eelarvest ning suure hulga patsientide ravi rahastamiseks ei jääks enam vahendeid.

Komisjon võttis arutelu kokku. Vajadus ravimi järele on olemas, sest alternatiivid puuduvad. Ravimist saadav kasu on tagasihoidlik ning pikaajalisi ravi tulemusi ei ole teada. Ravimi kulutõhusus ei ole teada ning ravimi hüvitamisega kaasnev eelarvemõju on suur.

Komisjoni arvamus (ühehäälnelne)

Komisjon soovitas haigekassa juhatusel taotlust mitte rahuldada, sest kliiniline efekt on tagasihoidlik, pikaajaline toime ei ole teada ning eelarvemõju on suur.

Alar Irs
Juhataja

Marta Danilov
Protokollija