

MEDITSIINILISE TÕENDUSPÕHISUSE HINNANG

| | |
|------------------------|---|
| Teenuse nimetus | Ravikuur rekombinantse von Willebrandi faktori kontsentraadiga, 650 toimeühikut (TÜ) |
| Taotluse number | 1426 |
| Kuupäev | 11.2019 |

1. Tervishoiuteenuse meditsiiniline näidustus

Taotluses esitatud näidustus rekombinantse von Willebrandi faktori (VWF) VEYVONDI kasutamiseks on korrektne. Just plasmapõhiste ravimite talumatuse tõttu on rekombinantne ravim olnud ja on jätkuvalt vajalik Eestis.

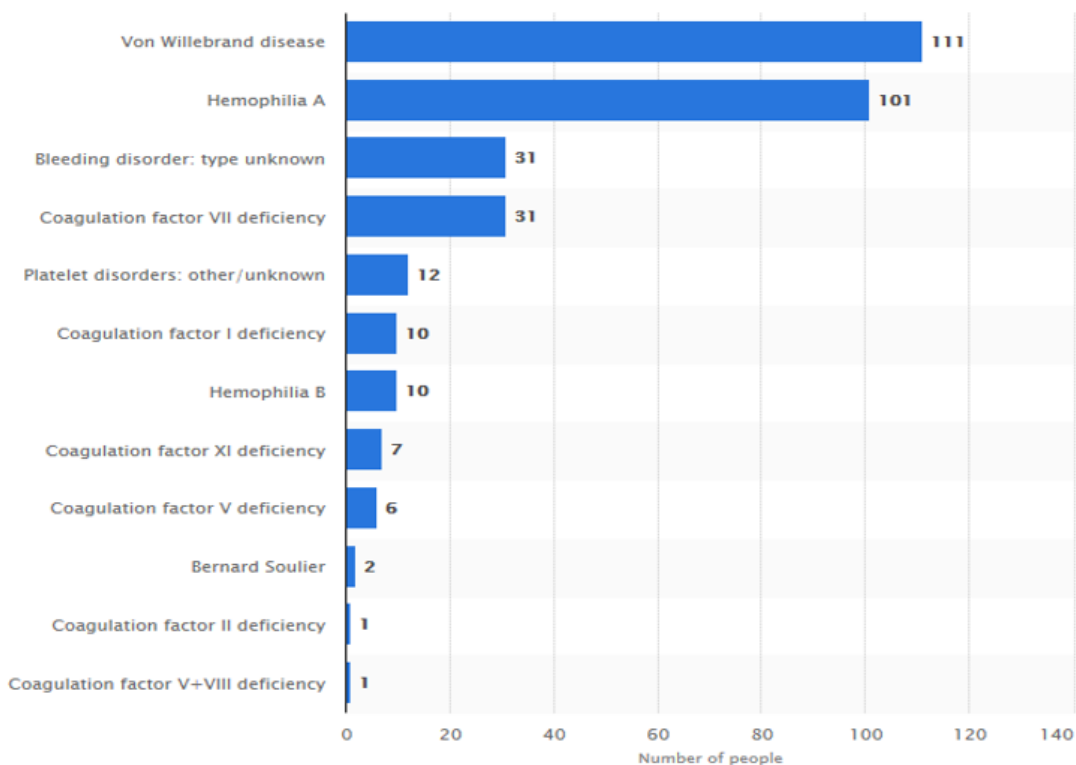
Täiendan: VEYVONDI ravimomaduste kokkuvõte (1) piiritleb ravimi näidustuse 18-aastastele ja vanematele patsientidele, kui ravi desmopressiniga on ebatõhus või ei ole näidustatud.

2. Näidustuse aluseks oleva haiguse või terviseseisundi iseloomustus

Taotluses on haiguse taustainfo korrektne.

Täiendan: World Federation of Hemophilia 2017.a. aruandes (2) on Eestit puudutavad andmed järgmised:

Number of people with bleeding disorders in Estonia



3. Tervishoiuteenuse tõenduspõhised andmed ravi tulemuslikkuse kohta kliiniliste uuringute ja metaanalüüside alusel

Taotluses esitatud andmed tuginevad kolmele kõige olulisemale seni publitseeritud kliinilisele uuringule selles valdkonnas: 070701, 071001 ja 071101 (3, 4, 5). Andmed on esitatud korrektselt.

4. Tervishoiuteenuse tõenduspõhised andmed ravi ohutuse kohta

Taotluses esitatud andmed ravi ohutuse kohta on pärit ravimomaduste kokkuvõttest, mis koondab info seni läbi viidud kliinilistest uuringutest ja on sellisena parim tõenduspõhine allikas.

Eraldi vääriks märkimist, et kuna VEYVONDI ei sisalda inimmaterjali, siis tundub olevat õigustatud selle ravimi kasutamine patsientidel, kellel on esinenud talumatus plasmapäritolu VWF preparaate suhtes. Praegu siiski kliinilised uuringud selles osas puuduvad.

Veel on oluline, et kõik VEYVONDI ohutuse uuringud on tehtud kombinatsioonis ainult Advatega (FVIII kontsentraat), mistõttu puuduvad teadmised koostoimetest ja ohutusest teiste FVIII toodetega.

5. Tervishoiuteenuse osutamise kogemus maailmapraktikas

VEYVONDI kasutusest väljaspool kliinilisi raviuuringuid on väga vähe teada. Jaanuaris 2020 publitseeriti Virginia Ülikooli arstide poolt ülevaade VEYVONDI kasutamiskogemusest 19 raviepisoodis 12 erineval patsiendil vanuses 18- 87 a. Esindatud olid erinevad VW haiguse alatüübid, erineva raskusastmega veritsused, peri- operatiivne

käsitlus. Kogutud andmed näitasid, et ravim oli efektiivne, ohutu ja hästi talutav. Kõikidel patsientidel saavutati positiivsed ravitulemused ilma täiendava FVIII preparaadi manustamiseta. Kirurgiliste protseduuride puhul kasutati lisaks vaid desmopressiini või traneksaamhapet. Trombootilisi tüsistusi ei esinenud. Allergiat ei tekkinud ka neil patsientidel, kellel oli varem täheldatud allerilisi reaktsioone või talumatust plasmapäritolu VWF suhtes (6).

6. Tõenduspõhisus võrreldes alternatiivsete tõenduspõhiste raviviisidega

Taotluses esitatud alternatiivid – plasmapõhine VWF+FVIII ja desmopressiin – on Eestis seni olnud kasutuses standardravina. Seega, võrdlus on korrektne ja lisatud selgitused on asjakohased.

7. Taotletava teenuse ja alternatiivse raviviisi sisaldumine Euroopa riikides aktsepteeritud ravijuhistes

Rekombinantse VWF kasutus on seni publitseeritud vähestes ravijuhistes. Taotluses on esitletud kahte olulist.

Maailmas on käimas suur koostööprjekt (American Society of Hematology, International Society on Thrombosis ja Haemostasis, National Hemophilia Foundation, World Federation of Hemophilia, University of Kansas), mille eesmärgiks on 2020. aastal publitseerida rahvusvahelised juhised VW haiguse käsitluseks.

8. Tervishoiuteenuse osutamiseks vajalike tegevuste kirjeldus

Esitatud andmed on õiged ja kirjeldused piisavalt detailsed. Ravimi üldine manustamisskeem on korrektselt esitatud. Ravimi annustamine on individuaalne ja pole antud dokumendis detailsemaks esitlemiseks asjakohane.

9. Tingimused ja teenuseosutaja valmisolek kvaliteetse tervishoiuteenuse osutamiseks

9.1. Tervishoiuteenuse osutaja – täiendusi ei ole

9.2. Tervishoiuteenuse osutamise tüüp – täiendusi ei ole

9.3. Raviarve eriala – täiendusi ei ole

9.4. Minimaalne tervishoiuteenuse osutamise kordade arv kvaliteetse teenuse osutamise tagamiseks – täiendusi taotluses toodud vastusele ei ole

9.5. Personali (täiendava) väljaõppe vajadus – täiendusi ei ole

9.6. Teenuseosutaja valmisolek – täiendusi ei ole

10. Teenuse osutamise kogemus Eestis

Esitatud andmed on korrektsed.

11. Eestis tervishoiuteenust vajavate isikute ja tervishoiuteenuse osutamise kordade arvu prognoos järgneva nelja aasta kohta aastate lõikes

Prognoos on esitatud parimate praeguste teadmiste põhjal, seega asjakohane.

12. Tervishoiuteenuse seos kehtiva loeteluga, ravimite loeteluga või meditsiiniseadmete loeteluga ning mõju töövõimetusele

Taotluses esitatud põhjendustele täiendusi ei ole.

13. Hinnang patsiendi omaosaluse põhjendatusele ja patsientide valmisolekule tasuda ise teenuse eest osaliselt või täielikult

Tegemist on elupäästva raviga, patsiendi omaosalus ei ole põhjendatud.

14. Tervishoiuteenuse väär- ja liigkasutamise tõenäosus

Täiendusi ei ole.

15. Patsiendi isikupära võimalik mõju ravi tulemustele

Nõustun taotluses esitatud väitega, et patsiendi isikupära ei mõjuta ravitulemust.

16. Tervishoiuteenuse kohaldamise tingimused

Täiendusi ei ole.

17. Kokkuvõte

Taotletakse uue teenuse - ravikuur rekombinantse von Willebrandi faktori kontsentratsiooniga, 650 toimeühikut (TÜ) – lisamist teenuste nimekirja. Teenus on näidustatud von Willebrandi tõvega patsientidele, kes ei talu plasmapõhiseid ravimikontsentraate või kellel on kombineeritud VWF+ FVIII preparaadi kasutamisel oht FVIII liiga kõrge taseme tekkimiseks, mis tõstab tromboosiriski.

Rekombinantne VWF on uudne preparaat, mis suudab korrigeerida nii VW haiguse korral esineva primaarse hemostaasi defekti kui ka sekundaarse hemostaasi häirena esineva FVIII puudulikkuse. Ravimi kasutuse kohta kogutud info näitab, et tegemist on efektiivse ja ohutu preparaadiga. Veelgi enam, VEYVONDI kasutamine on ainsaks võimaluseks nende patsientide ravis, kes ei talu plasmapõhiseid hüübimisfaktoreid või kelle FVIII liiga kõrge algase tõstab tromboosiriski.

18. Kasutatud kirjandus

- 1. Veyvondi ravimiomaduste kokkuvõte*
- 2. www.WFH.org*
- 3. Mannucci PM et al. Pharmacokinetics and safety of novel recombinant human von Willebrand factor manufactured with a plasma-free method: a prospective clinical trial Blood, 2013(122); 648- 657*
- 4. Gill JC et al. Hemostatic efficacy, safety and pharmacokinetics of recombinant von Willebrand factor in severe von Willebrand disease. Blood 2015; 126(17), 2038- 2046*
- 5. Peyvandi DF. Phase 3 study of recombinant von Willebrand factor in patients with severe von Willebrand disease who are undergoing elective surgery. J Thromb Haemost 2019; 17: 52- 62*
- 6. Tran t et al. Vonicog alfa for the management of von Willebrand disease: a comprehensive review and single- centre experience J Thromb Haemost 2020 (vt manus)*