



RAVIMIAMET

AstraZeneca Eesti OÜ
Valukoja 8
11415 TALLINN

26.05.2026. nr SVJ-11/71-2

estonia@astrazeneca.com

OTSUS

***Compassionate use* programmi algatamise lubamisest keeldumiseks**

AstraZeneca Eesti OÜ esitas 27.03.2026 Ravimiametile taotluse, millega soovitakse *compassionate use* programmi (CUP) raames võimaldada tasuta ravi durvalumabiga kuni 10-le kõrge riskiga mitte-lihasinvasiivse kusepõievähiga (kõrge riskiga NMIBC; hrNMIBC) patsiendile, kes saavad ravi intravesikaalse Bacillus Calmette-Guérini-ga (BCG). BCG on nende patsientide raviks kasutatav standardravi, mida hangitakse ja rahastatakse ravikeskuste kaudu. Selle kulu AstraZeneca ei hüvita.

Taotluse hindamiseks vajaliku täiendava teabe saamiseks on Ravimiamet palunud lisainfot nii AstraZeneca Eesti OÜ esindajalt kui ka põievähi raviga tegelevalt onkoloogidelt. Lisainfo on Ravimiametile edastatud e-kirjade teel.

Ravi soovitakse läbi viia Ida- Tallinna Keskhaiglas, Põhja-Eesti Regionaalhaiglas, Tartu Ülikooli Kliinikumis.

Uusi patsiente soovitakse kaasata *compassionate use* programmi, kuni durvalumab saab uuritaval näidustusel Euroopa Komisjoni müügiloa.

Patsientidele, kes on alustanud ravi durvalumabiga CUP raames, võimaldatakse ravi durvalumabiga kuni haiguse progresseerumiseni või talumatu toksilisuseneni või kuni Tervisekassa soodustuse saamiseni või maksimaalselt 13 ravitsükli (vastavalt sellele, mis leiab aset esimesena). Kui Tervisekassa soodustingimused ei laiene CUP raames ravi alustanud patsientidele, tagab ravimitootja nendele patsientidele ravi durvalumabiga kuni ravivajaduse lõppemiseni.

Durvalumabil ei ole käesolevalt antud näidustusel Euroopa Liidus müügiluba, aga müügiloa muudatuse taotlus kõrge riskiga mitte-lihasinvasiivse kusepõievähi näidustuse lisamiseks on Euroopa Ravimiametis menetluses.

Euroopa Parlamendi ja nõukogu määruse (EÜ) nr 726/2004 artikli 83 lõike 1 kohaselt võib EL liikmesriik käesoleva määruse artikli 3 lõigete 1 ja 2 alusel teha *compassionate use* eesmärgil erandi direktiivi 2001/83/EÜ artiklis 6 sätestatud ravimi müügiloa nõudest. Euroopa Parlamendi ja nõukogu määruse (EÜ) nr 726/2004 artikli 83 lõike 2 kohaselt on *compassionate use* eesmärk võimaldada kroonilise, invaliidistava või eluohtliku haigusega patsientide, keda

ei saa ravida olemasolevate müügiloaga ravimitega, raviks kasutada ravimeid, mis on kliiniliste uuringute faasis või mille müügiloa taotlus on Euroopa Ravimiametis menetluses.

Ravimi kasutamise eelduseks *compassionate use* programmi raames on, et ravim on ravi läbi viiva arsti hinnangul patsiendi jaoks vajalik elupäästval eesmärgil ning kõik teised ravimid ja ravimeetodid, mille eest Tervisekassa võtab üle tasu maksmise kohustuse, ning mis on patsiendile meditsiiniliselt sobivad ja rahaliselt kättesaadavad, on ammendunud või oluliselt väiksema efektiivsusega, ning on vähemalt tõenäoline, et ravimist saadav kasu kaalub üles võimaliku ohu.

Compassionate use programmi algamiseks peab ravimi tootja esitama Ravimiametile kokkuvõtte ravimi kliinilistest uuringutest saadud ohutuse ja efektiivsuse andmete kohta ning Ravimiamet hindab, kas ravimi kasutamisest saadav võimalik kasu kaalub üles ravimi kasutamisega seotud võimaliku kahju.

National Comprehensive Cancer Network (NCCN) Version 1.2026. põievähi ravijuhis ei soovita kõrge riskiga NMIBC-ga patsientide ravis durvalumabi intravesikaalsele BCG-le lisada, kuna ei ole kindel, kas durvalumabi lisamisega kaasnevad kasud antud patsiendigrupis kaaluvad üles ravimi kasutamisega seotud riskid.

Kõrge riskiga mitte-lihasinvasiivse kusepõievähiga patsientidele on Eestis kättesaadav standardravi intravesikaalse Bacillus Calmette-Guérini-ga.

Ravimiametile esitatud CUP taotlus põhineb uuringul, milles võrreldi, kas durvalumabi lisamine standardravile, BCG-le, parandab varajases faasis kõrge riskiga mitte-lihasinvasiivse kusepõievähiga patsientide prognoosi. Selleks võrreldi patsiente, kes said raviks durvalumabi koos BCG-ga ja ainult BCG-d saanud patsiente. Uuringus saadud andmete põhjal jääb ebaselgeks, kas durvalumabi lisamine standardravile on antud patsiendigrupi jaoks positiivse kasu-riski suhtega. Seniste tulemuste põhjal ei ole durvalumabi lisamisel tavaravile mõju üldisele elulemusele. Ehkki haigusvabas perioodis leiti mõningane erinevus durvalumabi koos BCG-ga ja ainult BCG-d saanud patsientide võrdluses, on see erinevus väike. Taotlusega esitatud andmete põhjal ei ole selge, kas durvalumabi lisamine BCG-le vähendab tsüstektomia (haiguse taastekkel kasutatav patsientide elukvaliteeti oluliselt halvendav ravimeetod) vajadust. Samuti nähtub kliinilise uuringu tulemustest, et kõrge riskiga patsientide hulgas eristuvad patsiendigrupid (näiteks *carcinoma in situ*ga patsiendid) kelle puhul durvalumabi lisamine ei pruugi haigusvaba perioodi pikendada. Durvalumabi lisamine standardravile suurendab kõrvaltoimete esinemissagedust. Kokkuvõttes on durvalumabi efektiivsus antud patsiendigrupi ravitulemuste parandamisel ebakindel.

Ravimiameti hinnangul ei ole durvalumabi kasutamine *compassionate use* programmi raames kõrge riskiga mitte-lihasinvasiivse kusepõievähiga patsientide raviks käesolevalt põhjendatud, kuna antud patsientide jaoks on kättesaadav standardravi intravesikaalse Bacillus Calmette-Guérini-ga ja ei ole selge, kas durvalumabi lisamine standardravile parandab oluliselt patsientide prognoosi.

Võttes arvesse AstraZeneca Eesti OÜ taotluses esitatud andmeid, hinnates kõiki asjaolusid ning tuginedes ravimiseaduse § 21 lõike 8 punktile 2, otsustab Ravimiamet

jätta AstraZeneca Eesti OÜ *compassionate use* programmi taotlus rahuldamata ja keelduda loa andmisest ravimi durvalumab infusioonilahuse kontsentraat 50 mg/ml erandkorras tasuta andmiseks *compassionate use* programmi raames kõrge riskiga mitte-lihasinvasiivse kusepõievähiga patsientide raviks.

Vaide käesolevale otsusele saab esitada Ravimiametile 30 päeva jooksul arvates otsuse teatavakstegemisest vastavalt haldusmenetluse seaduse § 71 lõikele 1 ja §-le 75. Kui otsuse saaja soovib otsust vaidlustada halduskohtus, võib ta vastavalt halduskohtumenetluse seadustiku § 7 lõikele 1 ja § 46 lõikele 1 esitada kaebuse otsuse peale Tartu Halduskohtule 30 päeva jooksul otsuse teatavaks tegemisest arvates.

(allkirjastatud digitaalselt)

Ott Laius
Peadirektori asetäitja

Ellen Lurje
737 4140
ellen.lurje@ravimiamet.ee