



RAVIMIAMET

SIA Novartis Baltics Eesti filiaal
Pärnu mnt 141
11314 TALLINN

19.06.2026 nr SVJ-11/118-2

karin.varrak@novartis.com

OTSUS

***Compassionate use* raames ühele patsiendile tasuta ravimi jagamiseks**

SIA Novartis Baltics Eesti filiaal esitas 17.06.2026 Ravimiametile taotluse, millega soovitakse *compassionate use* raames võimaldada ühele pleksiformse neurofibroomiga dr. K.L. (Tallinna Lastehaigla) patsiendile tasuta ravi trametiniibiga.

Taotluse hindamiseks vajaliku täiendava teabe saamiseks on Ravimiamet palunud lisainfot patsiendi raviarstilt. Vajalik lisainfo on Ravimiametile edastatud e-kirja teel.

Ravi soovitakse läbi viia Tallinna Lastehaiglas.

Ravimit soovitakse tasuta võimaldada sümptomaatilise pleksiformse neurofibroomiga patsiendile, kellel on tuvastatud NF1 geeni mutatsioon ning kellel on mitmeid haiguskohte.

SIA Novartis Baltics Eesti filiaal võtab endale kohustuse tagada patsiendile tasuta ravi, kuni see on kliiniliselt näidustatud või kuni Tervisekassa või teise alternatiivse asutuse poolse rahastuse ülevõtmiseni.

Trametiniibi suukaudse lahuse pulbril Spexotras on käesolevalt Euroopa Komisjoni müügiluba ((nr EU/1/23/1781) kasutamiseks madalmaliigse glioomi ja kõrgmaliigse glioomi raviks. Pleksiformse neurofibroomi ravis kasutamiseks on trametiniib uuringute faasis.

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

Patsiendi raviarst on hinnanud, et trametiniib on käesolevalt ainuke ravivõimalus ning oodatav raviefekt kaalub üles võimalikud kõrvaltoimed. Ravi eesmärk on aeglustada neurofibromatoosi kollete kasvu või vähendada kollete suurust.

Ravimiameti hinnangul on trametiniibi kasutamine *compassionate use* raames antud patsiendi raviks põhjendatud, kuna tegemist on raske kroonilise ning potentsiaalselt eluohtliku haigusega, selle ravivõimalused on piiratud ning puuduvad kättesaadavad müügilooma

ravimid, mis oleksid antud haiguse raviks näidustatud, antud patsiendile manustamiseks sobivas ravimvormis ja Tervisekassa poolt kompenseeritavad alla 1 aasta vanuse patsiendi puhul. Hiljuti avaldatud 2 faasi kliinilise uuringu tulemuste põhjal võib trametiniib vähendada pleksiformse neurofibroomi haiguskollete suurust. Ravi efektiivsuse ja ohutuse andmed pleksiformse neurofibroomi ravis on veel esialgsed ning siiani on uuringusse kaasatud väga vähe alla 1-aastaseid lapsi, mistõttu on ravi tulemuste prognoosimine antud patsiendil ebakindel. Samas, arvestades patsiendi senist haiguse kulgu ning antud patsiendi jaoks kättesaadava alternatiivse ravi puudumist, on ravimi kasutamine elupäästval eesmärgil põhjendatud.

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 müügiloo 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 müügiloo taotlus on Euroopa Ravimiametis menetluses.

Vastavalt võlaõigusseaduse § 766 lõigetele 1 ja 3 peab tervishoiuteenuse osutaja patsienti teavitama tervishoiuteenuse osutamisega seotud ohtudest ja tagajärgedest ja võib patsiendile tervishoiuteenust osutada üksnes tema nõusolekul. Sellest lähtuvalt juhime tähelepanu, et raviarst peab patsienti *compassionate use* programmi olemusest ja sellega kaasnevatest võimalikest ohtudest ja tagajärgedest teavitama ning võtma patsiendilt selles osalemiseks nõusoleku.

Võttes arvesse taotluses esitatud andmeid, hinnates kõiki asjaolusid ning lähtudes määruse (EL) 726/2004 artikli 83 lõikes 1 sätestatud, otsustab Ravimiamet ravimiseaduse § 21 lõike 8 punkti 2 alusel,

anda SIA Novartis Baltics Eesti filiaalile luba ravimi trametiniib 0,05mg 1ml suukaudse lahuse pulber (Spexotras) erandkorras tasuta jagamiseks *compassionate use* raames ühele dr. K.L. patsiendile.

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