



RAVIMIAMET

SIA Novartis Baltics Eesti filiaal
Pärnu mnt 141
11314 TALLINN

16.04.2024 nr SVJ-11/49-2

evely.lass@novartis.com

OTSUS

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

SIA Novartis Baltics Eesti filiaali esindaja Evelyn Lass esitas 11.03.2024 Ravimiametile taotluse, millega soovitakse *compassionate use* raames võimaldada ühele pilotsüütse astrotsütoomiga dr. L.-T.K. (Tartu Ülikooli Kliinikum) patsiendile tasuta ravi trametiniibiga.

Ravi viiakse läbi Tartu Ülikooli Kliinikumis.

Ravimit soovitakse tasuta võimaldada pilotsüütse astrotsütoomiga patsiendile, kellel on tuvastatud GNAI1:BRAF fusioon ning kelle kasvaja on osaliselt kirurgiliselt eemaldatud. Antud molekulaarset muutust, patsiendi seisundit ja senist haiguse kulgu arvestades peab patsiendi raviarst sobivaimaks edasiseks ravivõimaluseks sihtmärkravi trametiniibiga.

SIA Novartis Baltics Eesti filiaal võtab endale kohustuse tagada patsiendile ravi, kuni see on kliiniliselt näidustatud.

Trametiniibil on Euroopa Komisjoni müügiluba kasutamiseks BRAF V600 mutatsiooniga melanoomi või mitteväikerakk kopsuvähi raviks. Ravimit uuritakse glioomi ravis lastel kasutamiseks ning BRAF V600E mutatsiooniga pilotsüütse astrotsütoomi korral on trametiniib kombinatsioonis dabrafeniibiga ühe ravivõimalusena lisatud NCCN 2023. aasta kesknärvisüsteemi kasvaja ravijuhendisse. Spetsiifiliselt GNAI1:BRAF fusiooniga pilotsüütse astrotsütoomiga patsientide raviks trametiniibiga randomiseeritud uuringutest pärinevaid andmeid efektiivsuse ja ohutuse kohta pole.

Ravimiameti hinnangul on trametiniibi kasutamine *compassionate use* raames antud patsiendi raviks põhjendatud, kuna arvestades ravimi molekulaarset toimemehhanismi võib trametiniib MEK-inhibiitorina antud haiguse raviks efektiivne sihtmärkravim olla. Samuti on patsiendi raviarst hinnanud, et patsient vajab käesolevalt sümptomaatilise haiguse tõttu ravi

Esialgsete uuringute põhjal on ravimi lühiajaline ohutusprofiil lastel olnud aktsepteeritav. Ehkki andmed ravimi kliinilise efektiivsuse osas antud spetsiifilisel näidustusel on siiani veel vähesed, siis arvestades patsiendi haiguse senist kulgu ning kättesaadava alternatiivse efektiivse sihtmärkravi puudumist, saab ravimi kasutamist elupäästval eesmärgil pidada põhjendatuks.

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.

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.

Tuginedes SIA Novartis Baltics taotluses esitatud andmetele ning hinnates kõiki asjaolusid, otsustab Ravimiamet ravimiseaduse § 21 lõike 7 punkt 4 ning Euroopa Parlamendi ja nõukogu määruse (EÜ) nr 726/2004 artikli 83 lõike 1 alusel

anda SIA Novartis Baltics'ile luba ravimi trametiniib (Mekinist) 2 mg tablett erandkorras tasuta jagamiseks *compassionate use* raames ühele dr. L.-T.K. patsiendile.

Vaide käesolevale otsusele saab esitada Ravimiametile 30 päeva jooksul arvates otsuse teatavakstegemisest. 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