



**RAVIMIAMET**

AstraZeneca Eesti OÜ  
Valukoja 8/1  
11415 TALLINN

15.05.2025 nr SVJ-11/72-2

[estonia@astrazeneca.com](mailto:estonia@astrazeneca.com)

## **OTSUS**

### **Erandkorras tasuta ravimi andmiseks ühele patsiendile**

AstraZeneca Eesti OÜ esindaja Mari Reiman esitas 23.01.2025 Ravimiametile taotluse, millega soovitakse võimaldada tasuta ravi toimeainet danikopaan sisaldava ravimiga lisaks ravulizumabile või ekulizumabile paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga täiskasvanud patsientidele, kellel on residuaalne hemolüütiline aneemia, sealhulgas ühele dr. I.V. (SA Põhja-Eesti Regionaalhaigla) patsiendile.

Taotluse hindamiseks vajaliku täiendava teabe saamiseks on Ravimiamet palunud lisainfot nii AstraZeneca Eesti OÜ esindajalt kui patsiendi raviarstilt. Vajalik lisainfo on Ravimiametile edastatud e-kirja teel.

Ravi soovitakse läbi viia SA Põhja-Eesti Regionaalhaiglas.

AstraZeneca Eesti OÜ kinnitab, et võtab endale kohustuse tagada patsientidele tasuta ravim, kuni ravim Voydeya kantakse Tervisekassa soodusravimite nimekirja. Kui ravimit Tervisekassa soodusravimite nimekirja ei lisata, tagatakse programmi kaasatud patsientide ravi danikopaaniga ravivajaduse lõppemiseni AstraZeneca kulul.

Dr. I.V. paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga patsiendi haigus ei ole C5 inhibiitoriga ravist hoolimata kontrolli all. Patsiendil on komplitseeritud haiguse anamnees, residuaalne kliiniliselt oluline ekstravaskulaarne hemolüüs, patsient vajab sagedasi vereülekandeid ja tal on esinenud läbilöögihemolüüse. Arst hindab patsiendi uute läbilöögihemolüüsides esinemise riski kõrgeks. Patsiendi raviarsti hinnangul on danikopaani kasutamisel lisatuna terminaalse komplemendi inhibiitorile ravulizumabile oodatav kasu/riski suhe patsiendi jaoks positiivne ning komplemendi proksimaalse ja terminaalse komponendi inhibeerimine tagaks patsiendile parima ravi.

Toimeainet danikopaani sisaldav ravim Voydeya (tablett 50 mg ja 100 mg) on Euroopa Komisjoni müügiloaga ravim, mille müügiloa hoidja on Alexion Europe. AstraZeneca Eesti OÜ on volitatud esindama Alexion Group ettevõtteid, et tagada Alexion toodete kättesaadavus Eesti turul. Ravimi müügiloa järgne näidustus: „Voydeya lisaks ravulizumabile või ekulizumabile on näidustatud paroksüsmaalse öise hemoglobinuuria raviks (paroxysmal nocturnal haemoglobinuria, PNH) täiskasvanud patsientidel, kellel on residuaalne

hemolüütiline aneemia“. Programmi raames soovib AstraZeneca Eesti OÜ turustada ravimit müügiloo tingimustele mitte vastavas kliinilise uuringu pakendis. Ravim Voydeya pole antud näidustustel kantud Tervisekassa soodusravimite loetellu ning ei ole seetõttu konkreetsele ravi vajavale patsiendile kättesaadav.

Kuigi 23.01.2025 taotluses on välja toodud, et lisaks konkreetsele patsiendile, kes vajab raviarsti hinnangul ravimit elupäästval eesmärgil, soovitakse seda vajaduse korral tasuta anda ka teistele sama näidustusega patsientide rühmale, Ravimiamet seda võimalikuks ei pea. Ravimiameti hinnangul ei ole põhjendatud tasuta danikopaani andmine kõigile paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga täiskasvanud patsientidele, kellel on residuaalne hemolüütiline aneemia, kuna Eestis on kättesaadavad proksimaalse komplemendi raja inhibiitorid pegtsetakoplaan ja iptakopaan, mis on näidustatud kasutamiseks paroksüsmaalse öise hemoglobinuuriaga täiskasvanutele, kellel on hemolüütiline aneemia. Elupäästval eesmärgil erandkorras tasuta ravimite andmise lubamiseks on eelnevalt vajalik hinnata, et kõik kättesaadavad ja patsiendile meditsiiniliselt sobivad ravivõimalused on ära kasutatud. Antud patsiendigrupi puhul on teised ravivõimalused kättesaadavad ning nende sobimatuse või ammendumise hindamine eeldab individuaalse patsiendi senise haiguse ja raviloo kirjelduse ning patsiendi raviarsti hinnangu olemasolu.

Ravimiameti hinnangul on aga antud dr. I.V. patsiendi puhul danikopaani lisamine raviskeemi põhjendatud, kuna senise raviga komplemendi terminaalse osa blokeerimine ei ole patsiendi seisundi raviks piisavalt efektiivne olnud, patsiendil on residuaalne ekstravaskulaarne hemolüüs, ta vajab korduvaid vereülekandeid ja tema läbilöögihemolüüsi risk on patsiendi raviarsti hinnangul kõrge. Kui raviga on inhibeeritud ainult komplemendi raja proksimaalne osa, võib klassikalise komplemendi raja aktiveerumist soodustavate tegurite (infektsioonide, traumade, operatsioonide) mõjul tekkida massiivne intravaskulaarne läbilöögihemolüüs, mis võib põhjustada patsiendi jaoks eluohtliku seisundi. Raviarsti hinnangul võib komplemendi kaskaadis proksimaalse ja terminaalse osa samaaegne blokeerimine vähendada intravaskulaarse läbilöögihemolüüsi episoodi väga raskeks või eluohtlikuks muutumise riski. Kuna patsiendi läbilöögihemolüüsi risk on hinnatud kõrgeks, on põhjendatud komplemendi proksimaalse raja inhibiitori kasutamine koos komplemendi terminaalse osa inhibiitoriga. Danikopaan on komplemendi proksimaalse, alternatiivse raja inhibiitor, mis on näidustatud kasutamiseks koos terminaalse komplemendi osa inhibiitoriga. Eelnevat arvestades on tõenäoline, et danikopaani kasutamine raviskeemi osana võib patsiendi seisundit leevendada ning olla selle patsiendi jaoks sobivaim.

Danikopaani kasutamise eelduseks antud patsiendil on, et ravi on ravi läbi viiva arsti hinnangul patsiendi jaoks efektiivne ja ohutu ja ei ole teisi vähemalt sama efektiivsusega ravimeetodeid, mille eest Tervisekassa võtab üle tasu maksmise kohustuse, ning mis on patsientidele meditsiiniliselt sobivad ja rahaliselt kättesaadavad, ning on tõenäoline, et ravimi kasutamisest saadav kasu kaalub üles võimaliku ohu.

Võttes arvesse eeltoodut, samuti AstraZeneca Eesti OÜ taotluses esitatud andmeid ja patsiendi raviarsti dr. I.V. esitatud andmeid, hinnates kõiki asjaolusid ning tuginedes ravimiseaduse § 21 lõike 7 punktile 4,

otsustab Ravimiamet rahuldada taotluse osaliselt

- 1. jättes rahuldamata AstraZeneca Eesti OÜ taotluse ravimi danikopaan (Voydeya) tablett 50 mg ja 100 mg erandkorras tasuta andmiseks kõigile paroksüsmaalse**

**öise hemoglobinuuriaga täiskasvanud patsientidele, kellel on residuaalne hemolüütiline aneemia;**

- 2. rahuldadades AstraZeneca Eesti OÜ taotluse osas, millega anda AstraZeneca Eesti OÜ'le luba ravimi danikopaan (Voydeya) tablett 50 mg ja 100 mg erandkorras tasuta andmiseks ühele konkreetsele dr. I.V. 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](mailto:ellen.lurje@ravimiamet.ee)