

**Patsientide esindusorganisatsiooni arvamus tervishoiuteenuste loetelu muutmise ettepaneku kohta**

Organisatsiooni või ühenduse nimi	<i>Müeloomipatsiendid</i>
Postiaadress	<i>Kreutzwaldi 11-10, 10124 Tallinn</i>
E-posti aadress	<i>mait@prokons.ee</i>
Kontaktisiku ees- ja perekonnanimi ning kontaktandmed (e-posti aadress ja kontakttelefon)	<i>Mait Raava, mait@prokons.ee, 5068921</i>
Kas Teie esindatav organisatsioon või selle liikmed on saanud <b>viimase kahe aasta jooksul</b> tasu või toetuseid, uurimisgrante, stipendiume jms äriettevõtelt või mõnelt muult organisatsioonilt, kellel on huvi käsitletava taotluse vastu? <b>Palun teatage ka kõigist tulevast tööd puudutavatest tegevustest.</b>	<i>[„Jah“ korral loetlege kõik seotud ettevõtted ja organisatsioonid, omandatud väärtpaberid jms] Me ei ole saanud viimase kahe aasta jooksul tasu või toetusi äriettevõtelt ega organisatsioonidelt, kellel on huvi käsitletava taotluse vastu.</i>

Järgnevale küsimustele vastamisel palume lähtuda eelkõige patsientide reaalsest kogemusest. Kui seisukohad põhinevad teaduslikel kirjandusallikatel või muudel publitseeritud dokumentidel, siis tuua viide vastavale allikale ja edastada selle veebilink või täisteksti koopia.

Kommenteeritava teenuse/ravimi nimi:  <i>Ravikuur daratumumabiga (Taotlus 1495).</i>
Teenuse/ravimi näidustus:  <i>C90: Hulgine müeloom ehk hulgemüeloom ja plasmarakulised pahaloomulised kasvaja.</i>
Palun kirjeldage, kuidas vormil toodud informatsioon patsientide ja/või nende hooldajate kogemuste kohta on kogutud?  Esitatud informatsioon on kogutud: <ul style="list-style-type: none"><li>• Eesti müeloomipatsientide ja nende lähedaste isiklikust kogemusest ja omavahelisest informatsiooni jagamisest alates 2012. aastast;</li><li>• müeloomipatsientide organisatsioonidega <i>MPE</i>, <i>MyelomaUK</i>, <i>IMF</i> ja <i>MMRF</i> informatsiooni jagamisest alates 2015. aastast;</li><li>• teaduskirjandusest.</li></ul>

Nimetage tähtsuse järjekorras olulisemad patsiendi kõnealuse haigusseisundiga seotud igapäevaelu mõjutavad sümptomid:

1. Haigusest põhjustatud elukvaliteedi langus ja töövõime langus või täielik puudumine.
2. Haigusest põhjustatud organkahjustused (neerud, skelett, vereloome jne).
3. Haigusest ja ravi toksilisusest põhjustatud vereloome, neerude, närvisüsteemi, skeleti kahjustused, sagenenud infektsioonid, suurenenud väsimus, kroonilised valud jne.
4. Haigusest ja ravi toksilisusest põhjustatud puuded.

Kui hästi on patsiendi seisund kontrollitav praegu Eestis kättesaadavate ravivõimalustega?

1. Eesti müeloomipatsientide elulemuse mediaan on 38 kuud ehk 3,2 aastat (2012-2017; Kliinilise auditi ... 2020).
2. USA Mayo kliiniku müeloomipatsientide elulemuse mediaanid on:
  - a. 5,2 aastat (2001-2005) ja 6,1 aastat (2006-2010; Kumar 2014) ja
  - b. 5,5 aastat (2004-2008), 7,3 aastat (2009-2013) ja ei ole saanud (2014-2018; Nandakumar 2020).
3. Seega oli võrreldaval perioodil (2012-2017) Eesti müeloomipatsientide elulemuse mediaan üle kahe korra lühem võrreldes (2014-2018) Mayo kliiniku müeloomipatsientide elulemuse mediaaniga.
4. Müeloomipatsientide elulemuse mediaani pikendamise peamiseks põhjuseks on kaasaegsemate ravimite kättesaadavus esimestes raviridades (Kumar 2014; Nandakumar 2020).
5. Paraku „*Eesti Haigekassa poolt rahastatud ravivalikud on piiratud ja ei võimalda pakkuda patsientidele võimalikku parimat ravi*“ (Kliinilise auditi ... 2020).

Millises osas on Teie hinnangul hetkel eelkõige arenguruumi?

6. Müeloomipatsientide elulemuse pikendamiseks ja elukvaliteedi ja töövõime tõstmiseks on esmatähtis saavutada võimalikult hea ravivastus esimestes raviridades (Dimopoulos 2021, Kumar 2014, Mikhael 2019, Nandakumar 2020).
7. Eestis rahastatakse müeloomi ravi esimestes raviridades oluliselt vähemtõhusate ravimitega võrreldes daratumumabiga, mistõttu müeloomi ravis ei saavutata praegu võimalikult head ravivastust (vt Taotluses 1495 viidatud uuringud) ja selle tagajärjel on Eesti müeloomipatsientidel lühem progressioonivaba ravivastus ja elulemus ning halvem elukvaliteet ja töövõime.
8. Eestis ei ole hematoloogidel ja patsientidel võimalik valida patsiendi vajadustele vastavat personaalset raviskeemi, kuna ravikombinatsioonid ja -read on jäigalt määratud ja seetõttu ei saavutata võimalikult tõhusat ravivastust. Praeguse piirangu lahendamiseks tuleks ravikombinatsioonid ja -read teha patsiendile ja hematoloogile vabalt valitavaks nii, et need on tõendus põhised ja põhinevad tervishoiuteenuse osutaja ja Eesti Haigekassa usaldusel ja vastutusel.
9. Ravikuuri daratumumabiga farmakoökonomiline analüüs tuleks teha kulukasulikkuse analüüsil (vt Eesti Haigekassa tervishoiuteenuste loetelu kriteeriumide ... 2018, Balti riikide juhised ... 2001), milles arvestatakse seda, et daratumumab annab praegu eespool olevate ravimitega võrreldes oluliselt pikema elulemuse, kõrgema elukvaliteedi ja töövõime (ja suurenenud tööjõumaksude laekumise) ning ühtlasi vähendab ravi- ja

hoolduskoormust tänu müeloomi sümptomite paremale kontrolli alla saamisele, vähematele kõrvaltoimetele ja puuetele.

10. See tähendab, et ravikuuri daratumumabiga farmakoökoonoomiline analüüs ei taanduks ainult kulude võrdlemisele. Kahtlemata on viimane väga oluline, kuid see üksinda ei ole piisav, et lahendada suurt mahajäämust Eesti müeloomipatsientide elulemuses võrreldes kaasaegset ravi saavate müeloomipatsientidega.
11. Ravikuurile daratumumabiga tuleks seada hinnalagi, mis vastab kulukasulikkuse kriteeriumitele (lähtudes SKT tasemest ja tõustes korrelatsioon selle kasvuga). Selgus hinnalaes loob ravimi müügiloa hoidjale võimaluse hinnata, kui võrd ta suudab täita antud hinnalage ja siis keskenduda sellise taotluse esitamisele, mis heaks kiidetakse.

Kas antud teenus/ravim parandab patsiendi elukvaliteeti ja/või vähendab tema hooldamisvajadust (toimetulek igapäevaeluga, töövõime, sotsiaalsus)? Kui jah, siis kuidas?

1. Daratumumab on patsientidele hästi talutav (Wang 2021), mistõttu patsiendid ei pea enamasti ravi katkestama ravi toksilisuse tõttu ja nad saavad kätte tervikliku ravi, mis on palju tõhusam võrreldes osalise raviga.
2. Daratumumabiga ravi taastab patsientide elukvaliteedi ja töövõime oluliselt paremal tasemel ja pikemaks ajaks võrreldes praegu raviridades eespool rahastavate ravimitega (vt Taotluses 1495 viidatud uuringud), mistõttu tööealised patsiendid naasevad tööturule ja teenivad eluks vajalikku palka ning maksavad töjõumakse kauem ehk suurendavad riigi sissetulekuid.

Milline mõju on antud teenuse/ravimi kasutamisel patsiendi perekonnale ja/või hooldajale?

1. Kuna daratumumab on patsientidele hästi talutav (Wang 2021), väheneb vajadus patsientide hoolduse järele.
2. Kuna daratumumabiga ravi taastab patsientide elukvaliteedi ja töövõime palju pikemaks ajaks võrreldes praegu raviridades eespool rahastavate ravimitega (vt Taotluses 1495 viidatud uuringud), väheneb vajadus patsientide ülalpidamise ja sotsiaaltoetuste järele.

Kas antud teenuse/ravimi kasutamisega võib võrreldes praeguse standardraviga kaasneda puuduseid (nt kõrvaltoimed, kasutamise/manustamise keerukus, rahaline mõju patsiendile ja/või hooldajale)? Kui jah, siis milliseid?

1. Daratumumabil ei ole olulisi puudusi võrreldes praeguste teiste ravimitega, välja arvatud neutropeenia ja kopsupõletiku risk, kuid need kõrvaltoimed on enamasti tõhusalt ravitavad (Premkumar 2020, Wang 2021).

Kas on patsientide gruppe, kes saaksid antud teenuse/ravimi kasutamisest võrreldes teistega enam kasu (väikelapsed, vanurid jne)? Palun põhjendage.

1. Daratumumabiga ravi toob kasu igale müeloomipatsiendi grupile – nii tavalise kui ka kõrge riskiga patsientidele (Wang 2021).

Kokkuvõte esitatud arvamuse põhipunktidest (maksimaalselt 200 sõna):

Eesti müeloomipatsientide elulemus on üle kahe korra madalam võrreldes kaasaegset ravi saavate müeloomipatsientidega. Selle põhjuseks on praegu rahastatud ravivalikute piiratus.

Müeloomi ravi piiratust on võimalik ületada, kui Eesti Haigekassa seab müeloomi ravi taotluste hindamisel põhieesmärgiks kulukasulikkuse suurendamist.

Ravikuur daratumumabiga suurendab müeloomi ravi kulukasulikkust juhul, kui:

1. Daratumumabi kasutamine ravikombinatsioonides ja -ridades lähtub iga konkreetse müeloomipatsiendi vajadustest ehk on paindlikult patsiendi ja hematoloogi otsustada, et saavutata patsiendi võimalikult pikk elulemus, kõrge elukvaliteet ja töövõime. See tähendab, et daratumumab kombinatsioonis teiste ravimitega on kõikidele patsientidel kättesaadav juba esimeses ravireas.
2. Ravikuuri daratumumabiga farmakoökoonoomiline analüüs tehakse kulukasulikkuse analüüsil, milles arvestatakse seda, et daratumumab annab praegu eespool olevate ravimitega võrreldes oluliselt pikema elulemuse, kõrgema elukvaliteedi ja töövõime (ja suurenenud tööjõumaksude laekumise) ning ühtlasi vähendab ravi- ja hoolduskoormust tänu müeloomi sümptomite paremale kontrolli alla saamisele, vähematele kõrvaltoimetele ja puuetele.
3. Ravikuurile daratumumabiga seatakse hinnalagi, mis vastab kulukasulikkuse kriteeriumitele (lähtudes SKT tasemest ja tõustes korrelatsioon selle kasvuga). Selgus hinnalaes loob ravimi müügiloa hoidjale võimaluse hinnata, kuid võrd ta suudab täita antud hinnalage ja siis keskenduda sellise taotluse esitamisele, mis heaks kiidetakse.

Arvamuse esitamise kuupäev:

Esitatud 08.03.2022

Viited

Balti riikide juhised ravimite farmakoökoonoomiliseks hindamiseks (2001). *Sotsiaalministeerium, ravimid ja meditsiiniseadmed*.

Dimopoulos et al. (2021). Multiple myeloma: EHA-ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Annals of Oncology*.

Eesti Haigekassa tervishoiuteenuste loetelu kriteeriumide täpsem sisu ning kriteeriumidele vastavuse hindajad, tervishoiuteenuste loetelu hindamise tingimused ja kord, tervishoiuteenuste loetelu komisjoni moodustamine ja töökord ning arvamuse andmise kord (2018). *Riigi Teataja*.

Kliinilise auditi „Müeloomtõvega patsiendi käsitus Eesti haiglates“ aruanne (2020). *Eesti Haigekassa*.

Kumar et al. (2014). Continued improvement in survival in multiple myeloma: changes in early mortality and outcomes in older patients. *Lancet*.

Mikhael et al. (2019). Treatment of multiple myeloma: ASCO and CCO Joint Clinical Practice Guideline. *Journal of Clinical Oncology*.

Nandakumar et al. (2020). continued improvement in survival of patients with newly diagnosed multiple myeloma (MM). *Blood*.

Premkumar et al. (2020). Modern treatments and future directions for relapsed/ refractory multiple myeloma patients. *Clinical Lymphoma, Myeloma & Leukemia*.

Taotlus 1495: „Hulgimüeloomi ravikuur daratumumabiga, üks manustamiskord“.

Wang et al. (2021). Efficacy and safety of daratumumab in the treatment of multiple myeloma: a systematic review and meta-analysis. *Journal of International Medical Research*.

Palume ühe tervishoiuteenuste loetelu muutmise ettepaneku kohta esitada organisatsiooni ühine taotlus, mis esindab koondatult organisatsiooni ühiseid seisukohti.

Täidetud vormi palume saata aadressil [info@haigekassa.ee](mailto:info@haigekassa.ee)