

MEDITSIINILISE TÕENDUSPÕHISUSE HINNANG

Teenuse nimetus <i>märgitakse uuesti teenuse nimetus taotluses esitatud kujul.</i>	Ravi kaplatsizumabiga omandatud trombootilise trombotsütopeenilise purpura (aTTP) korral.
Taotluse number <i>märgitakse taotluse number, mis elektroonsel taotlusel on esitatud faili nime alguses numbrikombinatsioonina ning paberandjal hindamiseks esitatud taotlusel on see lisatud taotluse paremasse ülaserava.</i>	1428
Kuupäev	08.05.2020

NB! Vormil kursiivis olev tekst on informatiivne ning selle võib hinnangu koostamisel vormilt kustutada.

1. Tervishoiuteenuse meditsiiniline näidustus

Hinnatakse, kas teenuse osutamise näidustused on õiged, asjakohased ning põhjendatud Eesti oludes. Vajadusel esitatakse omapoolsed täiendused/parandused koos selgituste ja põhjendustega ning viidetega vastavatele allikatele, mille põhjal on soovitud tehtud.

Teenuse – ravi kaplatsizumabiga omandatud trombootilise trombotsütopeenilise purpura (aTTP) korral – osutamise näidustus on õige, asjakohane ning põhjendatud Eesti oludes, sest ravimile puudub alternatiiv ning haigus on äge, kiiresti kulgev ning tõsiste tüsistustega.

Samal näidustusel on ravimi heaks kiitnud FDA (U.S Food and Drug Administration) 02.06.2019.a – multidistsiplinaarne ülevaade: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2019/761112Orig1s000TOC.cfm

ning EMA (European Medicine Agency) 28.06.2018.a, raport: https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/cablivi-epar-public-assessment-report_en.pdf

Kaplatsizumabi eelis kasutatuna koos plasmavahetusprotseduuri ning kortikosteroidraviga on ilmnenud uuringus ALX-0681-C301, “A Phase 3 Double-Blind, Randomized, Parallel Group, Multicenter Placebo-Controlled Trial to Study the Efficacy and Safety of Caplacizumab in Patients with Acquired Thrombotic Thrombocytopenic Purpura” (HERCULES trial, III faasi uuring) ning selle uuringu tulemused on toodud ära esitatud kõnealuse tervishoiuteenuste loetelu muuutmuse taotluse punktis 4.

TITAN, mis on II faasi uuring, kirjeldas trombemboolilisi sündmuseid, haiguse ügenemist või surmlõpet kaplatsizumabiga ravitud patsientidest 11,4% ning platseebot saanud patsientidest 42,3%, mis näitab aTTP agressiivset kulgu. Praegune raviskeem võrreldes kaplatsizumabi kasutamisega näitab aeglasemat efekti ning ei ole seotud otseselt patofüsioloogilise põhjusega, mis viib mikrotrombide tekkeni. (Joly et al).

Kalpatsizumabi kasutamisel vähenes plasmafereesi kestus 38% võrreldes platseeboga ning intensiivravipäevade vajadus 65% (3,4 päeva kaplatsizumabi kasutades vs 9,7 päeva platseebo). (Scully et al)

2. Näidustuse aluseks oleva haiguse või tervises seisundi iseloomustus

Hinnatakse, kas esitatud haiguse või tervises seisundi iseloomustus (sh. etioloogia, levimus, sümptomaatika) on adekvaatne ja ajakohane.

Omandatud trombotilise trombotsütopeenilie purpura (aTTP) iseloomustus – etioloogia, levimus ja sümptomaatika on taotluses kirjeldatud adekvaatselt ja ajakohaselt.

Levimus on kirjeldatud kirjanduses esitatud andmete alusel.

FDA taotluses on aTTP esinemussagedus (incidence) Ameerika Ühendriikides üks uus juhtum ühe miljoni inimese kohta (Joly, 2017)

EMA kokkuvõttes on aTTP sageduseks 1,2 kuni 11 ühe miljoni inimese kohta aastas, Euroopa Liidus on kirjeldatud sagedus 1,5 kuni 6 juhtu ühe miljoni kohta aastas.

3. Tervishoiuteenuse tõenduspõhised andmed ravi tulemuslikkuse kohta kliiniliste uuringute ja metaanalüüside alusel

Hinnatakse taotluses esitatud kliiniliste uuringute ja/või metaanalüüside asjakohasust ning tulemuste usaldusväärsust taotluses esitatud näidustusel. Analüüsitakse, esitatud on andmed asjakohaste tulemusnäitajate kohta ning kas tulemused (nii tulemusnäitaja numbriline väärtus, usaldusintervalli andmed kui ka olulisuse tõenäosuse näitaja (p-value) on korrektsed, statistiliselt ning kliiniliselt olulised.

Diagnostilise uuringu korral hinnatakse uuringu karakteristikuid: ohutus¹, täpsus², spetsiifilisus³, tundlikkus⁴ ning selgitatakse, millist mõju avaldab uuringu tulemus haiguse edasisele ravile ning patsiendi tervisele pikema perioodi jooksul.

Vajadusel esitatakse lisaandmed ja täpsustused tulemuste osas ning lisatakse põhjendused ja kasutatud kirjanduse viited. Kui hindajale on teada muud asjakohased uuringud, mille kohta taotluses ei ole esitatud viiteid, esitab hindaja need hinnangus alljärgneva tabeli kuju koos viidetega allikatele:

Taotluses esitatud kliinilised uuringud on asjakohased ning kvaliteetsed, peegeldades käeseolevate uuringutulemuste ja tõenduspõhisuse hetkeseisu. Esitatud andmed tulemusnäitajate kohta on asjakohased ning tulemused, usaldusintervallid on korrektsed ning antud haiguse korral kliiniliselt olulised.

Esmaseks tulemusnäitajaks oli aeg ravivastuseni (aeg esimesest intravenoossest ravimist/platseebost kuni trombotsüütide üldarvu normaliseerumiseni.

Tulemusnäitajad on kirjeldatud ülevaatlikus tabelis (Table 2) Scully et al. Mediaanaeg trombotsüütide arvu normaliseerumiseni kaplatsizumabiga võrreldes platseeboga oli 2.69 (95%CI, 1.89...2.83) vs 2,88 (95% CI, 2,68...3,56), P = 0.01

Liit-tulemusnäitaja a-TTP seotud surmajuhtude arvust, haiguse ägenemisest või kliiniliselt olulise trombemboolia esinemisest kaplatsizumabi grupis (9 patsienti (12%) ravimgrupis vs 36 patsienti (49%) platseebogrupis) ning tegemist on statistiliselt olulise tulemusega (P alla 0.001)

Teostatud lisaotsing PubMed „caplacizumab“, „aTTP“, kus otsing kitsendatud vabalt kättesaadava täistekstiga, mis oleks metaanalüüs, randomiseeritud kontrollitud uuring,

¹ Uuringu ohutus (safety) näitab uuringu teostamisest tekkivate kõrvaltoimete esinemist.

² Uuringu täpsus (accuracy) näitab uuringu võimet eristada uuritava haigusega patsiendid nendest, kellel uuritavat haigust ei ole

³ Uuringu spetsiifilisus (specificity) näitab negatiivsete juhtude osakaalu, mis on õigesti identifitseeritud.

⁴ Uuringu tundlikkus (sensitivity) näitab tegelikult positiivsete juhtude osakaalu, mis on õigesti identifitseeritud

mitmekeskuseline uuring, süstemaatiline ülevaade või ravijuhend, ei andnud juba esitatud tõendus põhisele materjalile lisaväärtust.

Uuringu sihtgrupp ja uuritavate arv uuringugruppide lõikes <i>Märkida uuringusse kaasatud isikute arv uuringugrupi lõikes ning nende lühiseloostus, nt. vanus, sugu, eelnev ravi jm.</i>	NA
Uuringu aluseks oleva ravi/teenuse kirjeldus	NA
Võrdlusravi <i>Uuringus võrdlusena käsitletud ravi/teenuse kirjeldus</i>	NA
Uuringu pikkus	NA
Esmane tulemusnäitaja <i>Uuritava teenuse esmane mõõdetav tulemus /väljund</i>	NA
4.2.6 Esmase tulemusnäitaja tulemus	NA
4.2.7 Teised tulemusnäitajad <i>Uuritava teenuse olulised teised tulemused, mida uuringus hinnati</i>	NA
4.2.8 Teiste tulemusnäitajate tulemused	NA

4. Tervishoiuteenuse tõendus põhised andmed ravi ohutuse kohta

Hinnatakse, kas taotluses on esitatud asjakohased andmed võimalike kõrvaltoimete ja tüsistuste ning nende ravi kohta. Vajadusel esitatakse omapoolsed parandused ja täiendused koos põhjendustega.

EMA vahendusel kättesaadav kõrvaltoimete kokkuvõte

https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/cablivi-epar-product-information_en.pdf toob esile veritsusriski ning hoiatuse kasutada ravimit maksapuudulikkusega patsientidel ettevaatlikkusega sellekohase tõendus põhise taustinformaatsiooni puudumisel.

HERCULES ja TITAN uuringu alusel esinesid kõrvaltoimed $\geq 2\%$ patsienditest, kes said ravi kaplatsizumabiga. https://www.rxlist.com/cablivi-drug.htm#side_effects;

	kaplatsizumab (CABLIVI)	platseebo
--	-------------------------	-----------

	N= 106 n(%)	N = 110 n(%)
Seedetrakti kõrvalnähud		
igemete veritsus	17 (16)	3 (3)
pärasoole veritsus	4 (4)	0 (0)
kõhu eesseina verevalum	3 (3)	1 (1)
Üldised kõrvalnähud		
nõrkus	16 (15)	10 (9)
palavik	14 (13)	12 (11)
süstekoha veritsus	6 (6)	1 (1)
kateetri piirkonna veritsus	6 (6)	5 (5)
süstekoha sügelus	3 (3)	0 (0)
Luu-lihaskonna ja sidekoe kõrvalnähud		
seljavalu	7 (7)	4 (4)
lihasvalu	6 (6)	2 (2)
Närvistüsteemi kõrvalnähud		
peavalu	22 (21)	15 (14)
paresteesia	13 (12)	11 (10)
Urotrakti kõrvalnähud		
uroidfektsioon	6 (6)	4 (4)
hematuuria	4 (4)	3 (3)
Reproduktiivsüsteemi ja rinnanäärmetega seotud kõrvalnähud		
vaginaalne verejooks	5 (5)	2 (2)
menorraagia	4 (4)	1 (1)
Hingamisteede ja keskseinandiga seotud kõrvalnähud		
ninaverejooks	31 (29)	6 (6)
düspnoe	10 (9)	5 (5)
Naha ja nahaaluskoega seotud kõrvalnähud		
sügelus	15 (14)	7 (6)

Samad kõrvaltoimed on esile toodud hinnatavas taotluses, lisaks on mainitud pulmonaalne emboolia ühel patsiendil kaplatsizumab + immuunsupressioonravi grupis HERCULES uuringus.

Kõrvaltoimete esinemine ja relatiivne risk on toodud Scully et al joonis 3, millelt ilmneb, et ravimiga on eelkõige seostatav vähene (low-grade) limaskestade veritsus võrreldes platseeboga ning samuti on kõrvaltoimed ära toodud Peyvandi et al tabel 3.

5. Tervishoiuteenuse osutamise kogemus maailmapraktikas

Kui puuduvad tervishoiuteenuse tõenduspõhisuse andmed ravi tulemuslikkuse ja ohutuse kohta avaldatud kliiniliste uuringute ja metaanalüüside aluse, hinnatakse, kas taotluses esitatud andmed teenuse kasutamise kogemuse kohta maailmapraktikas on korrektsed ja asjakohased. Vajadusel esitatakse omapoolsed parandused ja täiendused koos põhjendustega.

Taotluses esitatud andmed kaplatsizumabi kasutamise kogemuse kohta aTTP ravis maailmapraktikas on asjakohased ning taotluse ülevaatamise hetkel paranduste/täiendusteta.

6. Tõenduspõhisus võrreldes alternatiivsete tõenduspõhiste raviviisidega

Hinnatakse, kas taotluses nimetatud alternatiivid on kohased ning käsitletavad antud tervises seisundi hindamiseks või raviks tavapraktikana / standardravina. Hinnatakse, kas taotletava teenuse oodatavad olulised lühi- ja pikaajalised tulemused tervisele on adekvaatselt esitatud ning võrdlus alternatiividega korrektne. Vajadusel esitatakse omapoolsed ettepanekud koos põhjendustega.

Kaplatsizumabile ei ole kliinilises praktikas alternatiivi. Tegemist on ravimiga, mis täiendab seniseid ravimeetodeid ning parendab raviefekti.

Oodatavad lühi- ja pikaajalised tulemused tervisele on esitatud põhjendatult. Tegemist on haruldase haigusega, mis on potentsiaalselt eluohtlik ning seni kasutusel olnud meetodite foonil kulgeb haigus ägenemistega, on potentsiaalselt eluohtlik ning ka praegu rakendatava ravi foonil võib olla tegemist patsiendi elukvaliteeti oluliselt halvendava haigusega, mis põhjustab töövõime vähenemist.

Kaplatsizumabi on haiguse tulemusliku ohjamise korral, kui patsiendi üldseisund on hea, võimalik manustada ambulatoorselt kogenud arsti jälgimisel all, mis vähendab haiglaravi vajadust.

7. Taotletava teenuse ja alternatiivse raviviisi sisaldumine Euroopa riikides aktsepteeritud ravijuhistes

Hinnatakse, kas taotluses on kajastatud asjakohaseid ravijuhendeid ning kas taotluses viidatud ravijuhendid toetavad teenuse kasutamist taotletaval näidustusel. Vajadusel esitatakse omapoolsed viited ravijuhistele.

Taotletav teenus ei sisaldu Euroopa riikide aktsepteeritud ravijuhistes. Tegemist on üliharuldase haigusega, mistõttu sellekohased erialased või riiklikud ametlikud ravijuhised on harvad või puuduvad. Taotluses esile toodud Suurbritannia protokoll aTTP raviks on avaldatud 2012.a ehk enne kõnealuse ravimi heakskiitu EMA poolt.

8. Tervishoiuteenuse osutamiseks vajalike tegevuste kirjeldus

Hinnatakse, kas taotluses on esitatud asjakohased ja õiged andmed teenuse tegevuse kirjelduse kohta: vajalikud tegevused (sh. ettevalmistavad tegevused ja ravimiteenuste korral raviskeem), kaasatud personal ja nende rollid, teenuse osutamise koht (palat, protseduuride tuba, operatsioonituba) ning kasutatavad seadmed ja tarvikud on asjakohaselt kirjeldatud. Vajadusel esitatakse omapoolsed parandused ja täiendused koos põhjendustega.

Lisaks analüüsitakse taotleja poolt esitatud kuluandmeid: kas esitatud ressursid, nende mahud ja optimaalne kasutusaeg on usutavad.

Taotluses on esitatud asjakohase ja õiged andmed teenuse tegevuse kirjelduse kohta. Ressursid, nende mahus ja optimaalne kasutusaeg on usutavad. Täiendusteta.

9. Tingimused ja teenuseosutaja valmisolek kvaliteetse tervishoiuteenuse osutamiseks

Hinnatakse, kas taotluses esitatud andmed on asjakohased ja ammendavad. Vajadusel täpsustatakse informatsiooni alapunktides 9.1-9.6 koos põhjendustega.

9.1. Tervishoiuteenuse osutaja

SA Põhja-Eesti Regionaalhaigla ja SA Tartu Ülikooli Kliinikum on multidistsiplinaarsed piirkondlikud haiglad, millega on tagatud teenuse kättesaadavus ning kogemuslik järjepidevus.

9.2. Tervishoiuteenuse osutamise tüüp

Tervishoiuteenuste osutamisel kasutatakse harvaesinevate haiguste ravimiteenused

9.3. Raviarve eriala

Hematoloogia ja/või nefroloogia – mõlemad erialad käsitlevad antud haigusega patsiente ning teostavad plasmavahetusravi.

9.4. Minimaalne tervishoiuteenuse osutamise kordade arv kvaliteetse teenuse osutamise tagamiseks

Taotluses esitatud andmed on asjakohased ja ammendavad.

9.5. Personali (täiendava) väljaõppe vajadus

Taotluses esitatud andmed on asjakohased ja ammendavad.

9.6. Teenuseosutaja valmisolek

Taotluses esitatud andmed on asjakohased ja ammendavad.

10. Teenuse osutamise kogemus Eestis

Hinnatakse, kas taotluses esitatud andmed teenuse kasutamise kogemuse kohta Eestis on korrektsed ja asjakohased. Vajadusel esitatakse omapoolsed parandused ja täiendused koos põhjendustega.

Taotluses esitatud andmed teenuse kasutamise kogemuse kohta Eestis on korrektsed ja asjakohased – tegemist on uue teenusega, mida pole olnud võimalik Eestis varasemalt osutada.

11. Eestis tervishoiuteenust vajavate isikute ja tervishoiuteenuse osutamise kordade arvu prognoos järgneva nelja aasta kohta aastate lõikes

Hinnatakse, kas taotluses esitatud andmed teenust vajavate patsientide arvu kohta on adekvaatsed, arvestades teenuse osutajate arvu Eestis, olemasolevat infrastruktuuri jm. Hinnatakse, kas patsientide jaotus taotluses esitatud näidustuste lõikes ning esitatud selgitused on õiged ja asjakohased. Hinnatakse, kas teenuse prognoos arvestades teenust vajavate isikute arvu ning keskmist teenuse kasutuskordade arvu isiku kohta, on õige ja asjakohane. Vajadusel esitatakse oma ettepanekud koos põhjendustega muudatuste kohta.

Taotluses esitatud andmed teenust vajavate patsientide arvu kohta on adekvaatsed ning arvestavad teenuse osutajate arvu Eestis – tegemist on üliharuldase haigusega, mille täpne esinemissagedus Eestis ei ole teada ning esinemissagedus toetub teaduskirjanduse andmetele. Punktis 9.3 on välja toodud 15 aasta andmed diagnoositud haigusjuhtude arvu kohta Põhja-Eesti Regionaalhaiglas.

Teenuse osutajad on piirkondlikud haiglad, kus on olemas nii hematoloogiline kui nefrooloogiline pädevus.

Taotluses toodud teenuse prognoos arvestab teenust vajavate isikute arvu ning keskmist teenuse kasutuskordade arvu, on asjakohane.

12. Tervishoiuteenuse seos kehtiva loeteluga, ravimite loeteluga või meditsiiniseadmete loeteluga ning mõju töövõimetusele

Hinnatakse, kas taotluses on esitatud õiged ja asjakohased andmed uue teenuse seoste kohta kehtiva loeteluga ning mõju töövõimetusele, kas on esitatud kõik asjakohased teenused, mida uus teenus hakkab asendama ning kas on taotluses adekvaatselt esitatud andmed teenuste asendamise osakaalude ja uute ravijuhtude kohta. Vajadusel lisatakse omapoolsed täiendused alapunktides 12.1-12.7 ning ettepanekud koos põhjendustega.

12.1. Tervishoiuteenused, mis lisanduvad taotletava teenuse kasutamisel ravijuhule

Taotluses on esitatud asjakohased andmed uue teenuse seoste kohta kehtiva loeteluga – tegemist on teenusega, mis ei oma alternatiive ehk ei asenda ühtki praegu kasutusel olevat teenust, kuid omab täiendava ravivõttena kaalu haiguse kontrollimisel ning haiguse kulust tulenevate tüsistuste ära hoidmisel ja seeläbi omab eeldatavat soodsat mõju töövõime säilimisele. Uus teenus ei hakka asendama ühtki senist teenust ning uue teenuse kasutusele võtmisega ei kaasne uute ravijuhtude lisandumist.

Järgmised tervishoiuteenused on osa aTTP ravist tänasel päeval ning nende teostamine on jätkuvalt vajalik, seetõttu võib neid käsitleda kui lisanduvaid teenuseid juhul, kui taotletav teenus tuleb kasutusele:

Terapeutiline plasmavahetus 7760

Afereesiplasma 4116

Ravi metüülprednisolooniga 385R

12.2. Tervishoiuteenused, mis lisanduvad alternatiivse teenuse kasutamisel ravijuhule *Alternatiivset teenust ei ole.*

12.3. Kas uus teenus asendab mõnda olemasolevat tervishoiuteenust osaliselt või täielikult?

Uus teenus ei asenda juba olemasolevaid tervishoiuteenuseid osaliselt ega täielikult, vaid lisandub senistele aTTP ohjamiseks vajalikele tervishoiuteenustele.

12.4. Kui suures osas taotletava teenuse puhul on tegu uute ravijuhtudega?

Taotletavale teenusele ei kaasne uusi ravijuhtusid, tegemist ei ole uute ravijuhtudega, ei tähenda uute ravijuhtude lisamist.

12.5. Taotletava tervishoiuteenusega kaasnevad samaaegselt, eelnevalt või järgnevalt vajalikud tervishoiuteenused (mida ei märgita taotletava teenuse raviarvele), soodusravimid, ja meditsiiniseadmed patsiendi kohta ühel aastal.

Taotletava tervishoiuteenuse lisandumisega ei kaasne üksnes tervishoiuteenuse lisandumisest tulenevalt eelnevalt, samaaegselt või järgnevalt vajalikud tervishoiuteenused. Haigus (aTTP) on ägeda ja multidistsiplinaarset käsitlust vajava kuluga, mistõttu ka ilma taotletava tervishoiuteenuseta on vajalikud mitmete tervishoiuteenused, mis juba käesolevalt kasutuses. Arvestama peab sellega, et haiguse kulg erinevatel patsientidel on erinev ning kätkeb tihti mitmeid haigusest tingitud tüsistusi (kesknärvisüsteemi, kardiovaskulaarseid või neerutüsistusi).

12.6. Alternatiivse raviviisiga kaasnevad (samaaegselt, eelnevalt või järgnevalt) vajalikud tervishoiuteenused (mida ei märgita taotletava teenuse raviarvele), soodusravimid, ja meditsiiniseadmed patsiendi kohta ühel aastal.

Alternatiivset raviviisi kaplatsizumabile ei ole.

12.7. Tervishoiuteenuse mõju töövõimetusele

Taotletav teenus suurendab võimalust, et aTTP vastus ravile saabub enne organkahjustuste teket, mistõttu eeldatavalt omab teenus soodsat mõju töövõimele. Taotletav teenus lühendab haiglaravipäevade arvu.

13. Hinnang patsiendi omaosaluse põhjendatusele ja patsientide valmisolekule tasuda ise teenuse eest osaliselt või täielikult

Hinnatakse patsiendi omaosaluse vajalikkust, omaosaluse protsenti ja maksmise võimalusi arvestades Ravikindlustuse seaduse § 31 lõikes 3 sätestatud ning selgitada: 1) kas teenuse osutamisega taotletav eesmärk on saavutatav teiste, odavamate meetoditega, mis ei ole seotud oluliselt suuremate riskidega ega halvenda muul viisil oluliselt kindlustatud isiku olukorda;

2) kas teenus on suunatud pigem elukvaliteedi parandamisele kui haiguse ravimisele või kergendamisele;

3) kas kindlustatud isikud on üldjuhul valmis ise teenuse eest tasuma ning millest nende otsus sõltub.

Patsiendi omaosalus ei ole vajalik ega põhjendatud, pole asjakohane.

14. Tervishoiuteenuse väär- ja liigkasutamise tõenäosus

Hinnatakse, kas taotluses esitatud andmed teenuse võimaliku väär-, ala või liigkasutamise kohta on õiged ja asjakohased. Vajadusel esitatakse täiendavad andmed.

Taotluses esitatud andmed teenuse võimaliku väär-, ala- või liigkasutamise kohta on õiged ja asjakohased – tegemist on harvikaigusega, mille diagnoosimine on kompleksne, on vajalik ADAMTS13 aktiivsususe testimine ning raviks on vajalik multidistsiplinaarne käsitlus piirkondliku haigla tasemel, mistõttu teenuse liigkasutamise risk on hinnanguliselt vähene.

15. Patsiendi isikupära võimalik mõju ravi tulemustele

Hinnatakse, kas patsiendi isikupära võib mõjutada ravi tulemusi; kui jah, siis lisatakse selgitused, kuidas võib see ravi tulemusi mõjutada.

Patsiendi isikupära ei mõjuta ravi tulemust.

16. Tervishoiuteenuse kohaldamise tingimused

Hinnatakse, kas tulenevalt näidustusest, kasutusviisist, ravikvaliteedi tagamise vajadusest vms on põhjendatud lisada teenusele kohaldamise tingimusi. Põhjendatuse korral sõnastada kohaldamise tingimused.

Teenusele kohaldamise tingimuste lisamine on põhjendatud – ADAMTS-13 aktiivsuse testimine on oluline kriteerium, teenuse kasutamise rakendamine patsiendil peab olema multidistsiplinaarne otsus, kuhu on kaasatud nii hematoloog kui nefroloog.

17. Kokkuvõte

Esitatakse kokkuvõtte koostatud hinnangust, kus kajastatakse alljärgnev informatsioon. Millisel näidustusel teenuse hüvitamist taotletakse. Milline on teenuse tulemuslikkus ja ohutus võrreldes alternatiivsete raviviisidega. Kuidas on ravijuhendites teenust kajastatud? Millised kohaldamise tingimused tuleks sätestada, et oleks tagatud tervishoiuteenuse ohutu ja optimaalne kasutus.

Tervishoiuteenuse kasutuselevõtt parandaks potentsiaalselt raskete organtüsistustega harvikaiguse ravivastust ning hoiaks ära haiguse ägenemise ning seeläbi lühendaks haiglaravi päevade arvu ning (tüsistuste tõttu vajalike) täiendavate uuringute mahtu.

Patsiendi eeldatav elukvaliteet õigeaegse ning pädeva raviga võimaldab säilitada elukvaliteeti ning vähendab tüsistuste tõttu tekkiva töövõimetuse mahtu. Teenuse hüvitamist taotletakse patsientidele, kellel on ADAMTS-13 aktiivsuse määramise ja kliinilise pildi alusel diagnoositud omandatud trombootiline trombotsütopeeniline purpura ning kelle ravi osas on teostatud konsilaarne otsus, mis hõlmab nii hematoloogi kui nefroloogi.

Teenuse tulemuslikkust ja ohtust ei ole võimalik võrrelda alternatiivsete raviviisidega, sest alternatiivseid raviviise ei ole – teenus täiendab seni võimalikku raviskeemi ning tulenevalt kliinilistest uuringutest parendab tulemust haigusest paranemise osas. Ravimi kõrvaltoimed ei ole haiguse enda tüsilikku kulgu arvesse võttes kliiniliselt määrava olulisusega.

Teenus ei ole kajastatud riiklikes ravijuhistes – harvikaiguste korral on ravijuhised harvad ning tegemist on väga uue teenusega, mida ei ole vähestes varem olemasolevates tegevusjuhistes seetõttu nimetada saanud.

Ohutuks ja optimaalseks kasutamiseks on vajalik multidistsiplinaarne patsiendi käsitus pürkondlikus haiglas ning sätestada kriteeriumid, millistel juhtudel teenus peaks olema rakendatav.

Arvestades omandatud trombootilise trombotsüütilise purpura tüsilikku kulgu, võiks kõnealuse teenuse lisandumine toetada oluliselt patsiendi paranemist, töövõime ja elukvaliteedi säilimist.

Kasutatud kirjandus

Kasutatud kirjandusallikate viited esitatakse järgmiselt:

*Esimene autor. Artikli nimetus. Väljaandja (artikli puhul ajakirja, -lehe nimi; raamatu puhul kirjastuse nimi), ilmumise aasta, kuu ning ajakirja puhul selle number, lehekülgede numbrid. Nt: Pouwer F et al. Association between symptoms of depression and glycaemic control may be unstable across gender. *Diabetic medicine: a journal of the British Diabetic Association*, 2001, Jul;18(7),595-598.*

Võimalusel esitatakse lisaks veebilink. Kui elektroonilisi viiteid ei ole võimalik esitada, esitatakse viidatud materjalidest elektroonsed või paberkandjal koopiaid.

1. U.S Food and Drug Administration multidistsiplinaarne ülevaade ülevaade https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2019/761112Orig1s000MultiR.pdf
2. European Medicine Agency hindamisraport https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/cablivi-epar-public-assessment-report_en.pdf
3. Joly et al „Thrombotic thrombocytopenic purpura“ *Blood* (2017) 129 (21): 2836–2846 DOI: 10.1182/blood-2016-10-709857
4. Scully et al “Caplacizumab Treatment for Acquired Thrombotic Thrombocytopenic Purpura“ *N Engl J Med* 2019; 380:335-346; DOI: 10.1056/NEJMoa1806311
5. Peyvandi et al „Caplacizumab for Acquired Thrombotic Thrombocytopenic Purpura“ *N Engl J Med* 2016; 374:511-522; DOI: 10.1056/NEJMoa1505533
6. Peyvandi et al „Caplacizumab reduces the frequency of major thromboembolic events, exacerbations and death in patients with acquired thrombotic thrombocytopenic purpura“ *J Thromb Haemost.* 2017 Jul;15(7):1448-1452. DOI: 10.1111/jth.13716

KULUTÕHUSUSE JA RAVIKINDLUSTUSE EELARVE MÕJU HINNANG

Teenuse nimetus	
Taotluse number	
Kuupäev	

1. Lühikokkuvõtte taotlusest

- 1.1. Ülevaade taotluse sisust
- 1.2. Taotletav teenus
- 1.3. Alternatiiv

2. Taotletava tervishoiuteenuse kulud

3. Kulutõhususe analüüs

- 3.1. Rahvusvahelised kulutõhususe hinnangud ja uuringud
- 3.2. Kulutõhusus Eestis

4. Ravikindlustuse eelarve mõju prognoos

- 4.1. Taotletava teenuse lühi- ja pikaajaline mõju ravikindlustuse eelarvele
- 4.2. Patsiendi poolt tehtavad kulutused
- 4.3. Teenuse väär- ja liigkasutamise tõenäosus ja majanduslikud mõjud
- 4.4. Kohaldamise tingimuste vajalikkus tervishoiuteenuse ohutu ja optimaalse kasutamise tagamiseks

5. Kokkuvõtte

Esitatakse lühikokkuvõtte koos hindaja selgituste ja põhjendustega tabelkujul:

	Vastus	Selgitused
Teenuse nimetus		
Ettepaneku esitaja		
Teenuse alternatiivid	jah/ei	
Kulutõhusus		
Omaosalus	jah/ei	
Vajadus	patsientide arv Eestis	
	teenuse osutamise kordade arv aastas kokku	
Teenuse piirhind		
Kohaldamise tingimused	jah/ei	
Muudatusest tulenev lisakulu ravikindlustuse eelarvele aastas kokku		
Lühikokkuvõte hinnatava teenuse kohta		

6. Kasutatud kirjandus

