

## MEDITSIINILISE TÕENDUSPÕHISUSE HINNANG

<b>Teenuse nimetus</b> <i>märgitakse uuesti teenuse nimetus taotluses esitatud kujul.</i>	Bioloogiline ravi ravulizumabiga (Ultomir) atüüpilise hemolüütilis-ureemilise (aHUS) korral, 1 manustamiskord
<b>Taotluse number</b> <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>	1471
<b>Kuupäev</b>	15.04.2021

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 – bioloogiline ravi ravulizumabiga (Ultomiris)atüüpilise hemolüütilis-ureemilise sündroomi (aHUS) korral – osutamise näidustus on õige, asjakohane ning põhjendatud. Atüüpilise hemolüütilis-ureemilise (aHUS)sündroomiga on Eestis 2 haiget saanud kallist eculizumab –ravi.***

***Ravulizumab (Ultomiris) inhibeerib komplemendi kaskaadi sarnaselt eculizumabiga, kuid ravulizumabi kohta puuduvad pika-ajalised randomiseeritud uuringud. Samuti puuduvad pika-aegsed randomiseeritud uuringud ka eculizumabi osas. Harvikaiguse, nagu aHUS osas on väga keeruline korraldada, pikaajaseid randomiseeritud uuringuid.***

***Ravimi on heaks kiitnud FDA (U.S Food and Drug Administration) 18.10.2019 aHUS raviks täiskasvanutel ja lastel.***

[https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2019/761108s001lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2019/761108s001lbl.pdf)

***Samuti on ravim heaks kiitnud EMA (European Medicine Agency) 02.07.2019,***

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/ultomiris-epar-public-assessment-report\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/ultomiris-epar-public-assessment-report_en.pdf)

***Euroopa Komisjon on aHUS-i näidustusel andnud müügiloa 29.06.2020***

***Ravulizumabi eelis eculizumabi ees on harvem mansutamine –üks infusioon iga 8 nädala järel, eculizumabi tuleb manustada iga 2 nädala järel. Ravulizumabil on kirjeldatud samu kõrvaltoimeid nagu eculizumabil. Ravulizumabi kontsentratsioon patsiendi veres püsib stabiilsem, harvem manustamine vähendab haiglas viibimise aega ja aitab kokku hoida tervishoiukulusid.***

## 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.

**Atüüpiline hemolüütilis-ureemiline sündroom (aHUS) on harvikaigus, mille etioloogia, levimus ja sümptomaatika on taotluses kirjeldatud adekvaatselt ja ajakohaselt.**

**Atüüpiline hemolüütilis-ureemiline sündroom (aHUS) on haruldane, eluohtlik, krooniline haigus, mis on kompleksi süsteemi poolt vahendatud trombootiline mikroangiopaatia (TMA), mida iseloomustavad äge neerukahjustus, trombotsütopeenia ja mikroangiopaatiline hemolüütiline aneemia. aHUS võib esineda nii täiskasvanutel kui ka lastel, pigem siiski lastel ja noortel täiskasvanutel.**

**Euroopas on raporteeritud esinemissagedus 0,23 – 1,9/ 1000 000 inimese kohta aastas. Üldine esinemissagedus on 0,39/ 1 000 000 inimese kohta aastas.**

**Levimus alla 20 aastaste hulgas on 2,21 – 9,4 /1 000 000 inimese kohta. Üldine aHUS-i levimus on 4,96/ 1 000 000 inimese kohta.**

**Teostatud lisaotsing PubMed „ravulizumab“, „atypical hemolytic syndrome“. Otsingutulemus ei andnud juba esitatud tõenduspõhisele materjalile lisaväärtust.**

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

Hinnatakse taotluses esitatud kliiniliste uuringute ja/või metaanalüüside ajakohasust 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: ohutus<sup>1</sup>, täpsus<sup>2</sup>, spetsiifilisus<sup>3</sup>, tundlikkus<sup>4</sup> 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:

Uuringu sihtgrupp ja uuritavate arv uuringugruppide lõikes Märkida uuringusse kaasatud isikute arv uuringugrupi lõikes ning nende lühiseloomustus, nt. vanus, sugu, eelnev ravi jm.	NA
Uuringu aluseks oleva ravi/teenuse kirjeldus	NA
Võrdlusravi	NA

<sup>1</sup> Uuringu ohutus (safety) näitab uuringu teostamisest tekkivate kõrvaltoimete esinemist.

<sup>2</sup> Uuringu täpsus (accuracy) näitab uuringu võimet eristada uuritava haigusega patsiendid nendest, kellele uuritavat haigust ei ole

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

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

<i>Uuringus võrdlusena käsitletud ravi/teenuse kirjeldus</i>	
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 tõenduspõhised 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 kui ka FDA kokkuvõte*

[https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2019/761108s001bl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2019/761108s001bl.pdf)

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ultomiris-epar-product-information\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ultomiris-epar-product-information_en.pdf)

*toob esile erihoiatuse raske meningokokkinfektsiooni suhtes – ravulizumabi kasutamine tõstab vastuvõtlikkust meningokokk infektsioonile/sepsisele Neisseria meningitidis). Infektsiooni riski vähendamiseks on nõutav, et kõik patsiendid oleksid vähemalt kaks nädalat enne ravulizumabi ravi alustamist vaksineeritud meningokokkinfektsiooni vastu. Patsiendid, kellel alustatakse raviga varem kui kaks nädalat pärast vaksineerimist, peavad saama profülaktilist antibakteriaalset ravi kuni kaks nädalat peale vaksineerimist. Sageliesinevate patogeensete meningokoki serorühmadega nakatumise ennetamiseks on soovitatav kasutada serorühmade A, C, Y, W135 ja B vastaseid vaktsiine.*

*ALXN1210-aHUS-311-312 uuringu alusel esines kõrvaltoimeid  $\geq 20$  % patsientidest. Peamised ravimitekked kõrvaltoimed olid ülemiste hingamisteede infektsioonid, kõhulahtisus, iiveldus, oksendamine, hüpertensioon ja palavik.*

*ALXN1210-aHUS-312:*

<i>Kõrvaltoime (N= 21)</i>	<i>No (%)</i>	<i>Sündmused</i>
<i>palavik</i>	<i>10 (47,6)</i>	<i>22</i>
<i>nasofariingiit</i>	<i>7 (33,3)</i>	<i>13</i>
<i>kõhulahtisus</i>	<i>7 (33,3)</i>	<i>10</i>
<i>oksendamine</i>	<i>7 (33,3)</i>	<i>25</i>
<i>peavalu</i>	<i>7 (33,3)</i>	<i>19</i>
<i>kõhuvalu</i>	<i>6 (28,6)</i>	<i>11</i>
<i>hüpertensioon</i>	<i>6 (28,6)</i>	<i>8</i>

<i>köha</i>	5 (23,8)	6
<i>Naha punetus</i>	4 (19,0)	5
<i>ninavesisus</i>	4 (19,0)	4
<i>lihasvalu</i>	4 (19,0)	7
<i>kõhukinnisus</i>	4 (19,0)	8
<i>iiveldus</i>	4 (19,0)	9

***Kõrvaltoimete esinemine Ariceta et al tabel 4, kus lastel on sagedasemaks kõrvaltoimeks palavik.***

*ALXN1210-aHUS-311*

<i>Kõrvaltoime (N= 58)</i>	<i>n (%)</i>	<i>sündmused</i>
<i>peavalu</i>	21 (36,2)	28
<i>kõhulahtisus</i>	18 (31,0)	24
<i>oksendamine</i>	15 (25,9)	18
<i>hüpertensioon</i>	13 (22,4)	20
<i>iiveldus</i>	13 (22,4)	16
<i>uroinfektsioonid</i>	10 (17,2)	21
<i>düspnoe</i>	10 (17,2)	13
<i>liigesvalu</i>	10 (17,2)	12
<i>palavik</i>	10 (17,2)	11
<i>köha</i>	10 (17,2)	10
<i>hüpokaleemia</i>	9 (15,5)	18
<i>Perifeersed tursed</i>	9 (15,5)	13

***Kõrvaltoimete esinemine on toodud Rondeau et al tabel 4, kus sagedasemaks kõrvaltoimeks pevalu ja kõhulahtisus.***

***Kummaski uuringus ei esinenud meningokokkinfektsioone.***

## **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 ravulizumabi kasutamise kogemuse kohta aHUS-i ravis on asjakohased ja 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.*

*Atüüpiline hemolüütilis-ureemiline sündroom (aHUS) on haruldane, eluohtlik, krooniline haigus, mis on komplemendi süsteemi poolt vahendatud trombootiline mikroangiopaatia (TMA) ning mida iseloomustavad äge neerukahjustus, trombotsütopeenia ja mikroangiopaatiline hemolüütiline aneemia.*

*Ravulizumab on alternatiiv kasutusel olevale Eculizumabile. Eculizumab on Euroopas aHUS-i raviks heaks kiidetud 24.11.2011. Enne Eculizumabi turule tulekut oli esmavalikuks plasmavahetus. Taotluses toodud viide Suurbritannia Hematoloogia ja Transplantatsiooni ühingu 2009 a. ravijuhendile on õige.*

*aHUS on eluohtlik haigus, mille ravivõimalused on väga piiratud. Peamiseks eeliseks on ravulizumabi puhul on harvem manustamine. Ravulizumabi manustatakse 8 nädala järel, eculizumabi 2 nädala järel. See võimaldab tervishoiukulude kokkuhoidu ja on ka patsientidele mugavam. Samuti on ravimi nivoo patsiendi veres stabiilsem.*

*Taotluses esitatud lühi-ja pikaajalised tulemused tervisele on esitatud põhjendatult.*

**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.*

**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 asjakohased ja õiged andmed teenuse tegevuse kirjelduse kohta. Ressursid, nende mahud ja optimaalne kasutusaeg on usutavad.*

*Atüüpilise hemolüütilis-ureemilise sündroomi puhul peab ravi ravulizumabiga trombootilise mikroangiopaatia (TMA) nähtude kadumiseks kestma minimaalselt 6 kuud. Selle aja möödumisel peab ravi jätkamist kaaluma iga patsiendi puhul eraldi.*

**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**

***Piirkondlikud haiglad: SA Põhja-Eesti Regionaalhaigla, SA Tartu Ülikooli Kliinikum ja keskhaiglatest : AS Lääne-Tallinna Keskhaigla***

**9.2. Tervishoiuteenuse osutamise tüüp**

*Tervishoiuteenuste osutamisel kasutatavad harvaesinevate haiguste ravimiteenused*

**9.3. Raviarve eriala**

*Nefroloogia, pediaatria – mõlemad erialad käsitlevad antud haigusega patsiente*

9.4. Minimaalne tervishoiuteenuse osutamise kordade arv kvaliteetse teenuse osutamise tagamiseks

*Taotluses esitatud andmed on õiged ja asjakohased*

9.5. Personali (täiendava) väljaõppe vajadus

*Taotluses esitatud andmed on õiged ja asjakohased*

9.6. Teenuseosutaja valmisolek

*Taotluses esitatud andmed on õiged ja asjakohased*

## **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 kasutamise kogemuse kohta Eestis on korrektsed ja asjakohased – tegemist on uue teenusega, mida pole Eestis varasemalt kasutatud. Eestis on kogemus ekulizumabi kasutamises.*

## **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.*

*Taotluses toodud teenuse prognoos arvestab teenust vajavate isikute arvu, tegemist on üliharuldase haigusega ja Eesti kohta esitatud andmed on õiged.*

## **12. Tervishoiuteenuse seos kehtiva loeteluga, ravimite loeteluga või meditsiiniseadmete loeteluga ning mõju töövõimetusle**

*Hinnatakse, kas taotluses on esitatud õiged ja asjakohased andmed uue teenuse seoste kohta kehtiva loeteluga ning mõju töövõimetusle, 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. Terapeutiline plasmavahetus (7760) on üks osa aHUS-i tänapäevasest ravist. Lisandub ka afereesiplasma (4116)*

12.2. Tervishoiuteenused, mis lisanduvad alternatiivse teenuse kasutamisel ravijuhule

*Taotluses esitatud andmed on asjakohased ja õiged.*

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

*Taotluses on esitatud õiged ja asjakohased andmed.*

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

*Taotletavale teenusele ravijuhtude lisandumist ei kaasne, kuna tegemist on harvikaigusega.*

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

*Taotluses esitatud andmed on asjakohased ja õiged. Haigus nõuab arenedes järjest enam tervishoiuteenuste kasutamist.*

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

*Taotluses on esitatud õiged ja asjakohased andmed*

12.7. Tervishoiuteenuse mõju töövõimetusele

*Taotletav teenus suurendab võimalust, et aHUS-i õigeaegse ja kaasaegse raviga on võimalik vähendada töövõimetuslehel viibimise aega. Samuti lüheneb ravulizumabi kasutamisega haiglapäevade arv.*

### **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 põhjendatud.*

### **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. Ravim on kasutusel harvikaiguse raviks ja ravimi kasutamise vajalikkuse otsustab konsiilium ja seetõttu on liigkasutamise risk 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.

**Antud teenus ei vaja tervishoiuteenuse kohaldamise tingimuste lisamist,**

## 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.

**Käesolevas taotluses esitatud uue ravikomponendi lisamine raviteenuste loetellu võimaldab atüüpilise hemolüütilise ureemiaga patsientidel saada kvaliteetset ja tervishoiusüsteemi vähemkoormavat ravi. Tegemist on harvikaigusega, mis avaldub eelkõige lastel ja noortel inimestel. Õigeaegse ja kättesaadava raviga lüheneb aktiivravi vajadus ja säilib patsiendi töövõime, samuti väheneb kalli neeruasendusravi vajadus.**

**Uue raviteenuse kasutuselevõtt aitab raske haiguse ravis kokku hoida ka tervishoiukulusid, kuna ravulizumabi manustamine toimub statsionaaris 8 nädala järele.**

**Raviteenust ei ole kajastatud riiklikes ravijuhistes, kuid harvikaiguste puhul ongi ravijuhised harvad ja tegemist on uue ravivõimalusega, mida ei ole ka olemasolevates tegevusjuhistes kajastatud.**

**Ohutuks ja optimaalseks kasutamiseks on vajalik multidistsiplinaarne patsiendi käsitlus ja konsilaarne otsus ravi läbiviimiseks.**

**Arvestades aHUS-i rasket haiguskulgu, saaks kõnealuse raviteenuse lisandumine toetada patsiendi paranemist, võimalike tüsistuste vähenemist, patsiendi töövõime ja elukvaliteedi säilimist.**

## 18. 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 koopiad.

1. U.S Food and Drug Administration multidistsiplinaarne ülevaade [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2019/761108s001lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2019/761108s001lbl.pdf)
2. European Medicine Agency hindamisraport [https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/ultomiris-epar-public-assessment-report\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/ultomiris-epar-public-assessment-report_en.pdf)
3. Ariceta et al „ The long-acting C5 inhibitor, ravulizumab, is effective and safe in pediatric patients with atypical hemolytic uremic syndrome naive to complement inhibitor treatment“ *Kidney International* 2021; <https://doi.org/10.1016/j.kint.2020.10.046>



4. Rondeau et al., *The long-acting C5 inhibitor, ravulizumab, is effective and safe in adult patients with atypical hemolytic uremic syndrome naive to complement inhibitor treatment* "Kidney International 2020, 97, 1287-1296;  
<https://doi.org/10.1016/j.kint.2020.01.035>
5. Tanaka et al., *The long-acting C5 inhibitor, ravulizumab, is efficacious and safe in pediatric patients with atypical hemolytic uremic syndrome previously treated with eculizumab* "Pediatric Nephrology 2021; 36(4):889-898  
<https://doi.org/10.1007/s00467-020-04774-2>

## KULUTÕHUSUSE JA RAVIKINDLUSTUSE EELARVE MÕJU HINNANG

<b>Teenuse nimetus</b>	
<b>Taotluse number</b>	
<b>Kuupäev</b>	

- 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. Kokkuvõte

Esitatakse lühikokkuvõte koos hindaja selgituste ja põhjendustega tabelkujul:

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

## 6. Kasutatud kirjandus

