

4.6.2018

OTAKANTAA-KOMMENTIT SUOSITUSLUONNOKSESTA “SEBELIPAASI ALFA LYSOMAALISEN HAPPAMAN LIPAASIN PUUTOKSEN HOIDOSSA”

Palkon kokouksessaan 26.4.2018 hyväksymä suositusluonnos oli 16.-31.5.2018 julkisesti kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa. Määräajan kuluessa annettiin kaksi kommenttia ja kumpikin vastaaja ilmoitti taustakseen sosiaali- ja terveysalan työntekijä.

Varsinainen suosituslause

Toinen kommentoijista katsoi, että sairauden yksilöllisyyttä tulisi korostaa kahden tautimuotoon jakautumisen sijaan, ja tarjota hoitoa kaikille potilaille, joilla sairaudesta aiheutuu merkittävä haitta. Hoito olisi aluksi määräaikainen ja jatkosta päätettäisiin selkeän mittariston perusteella.

Toinen kommentoija totesi, että lääke parantaa infantile-onset-muotoa sairastavan potilaan elämänlaatua huomattavasti, vaikkei se nousekaan terveen lapsen tasolle.

Toinen kommentoijista piti terminaalivaiheen rajausta asianmukaisena, mutta toinen totesi arvoinnin olevan taudin harvinaisuuden hyvin vaikeaa.

Lääkkeen hinnan osalta kommentoijat olivat samaa mieltä Palkon kanssa.

Terveysongelman vakavuus ja yleisyys

Toinen kommentoijista korosti Infantile-onset-potilaiden diagnostiikan nopeutta, jolloin välttyään myös tilanteilta, joissa hoitoa ei enää ole syytä aloittaa. Toinen kommentoijista korosti keskushermostovaurioiden välttämisen tärkeyttä. Osa potilaista on erittäin sairaita, mutta toisaalta tulee varoa mitättömien geenimutaatioiden julistamista tautia aiheuttaviksi. Hoidon keskittäminen ja kansainvälinen yhteistyö ovat tärkeitä.

Vaikuttavuus

Lääkkeestä huolimatta jäännöstautia jää ja muutakin hoitoa tarvitaan paljon.

Infantile-onset-potilaiden elämänlaatua kartoittavia vertaisarvioituja tutkimuksia ei liene tehty, koska aiemmin potilaat eivät eläneet pitkään. Lääkehoitoa saaneessa ryhmässä sattuneet kuolemantapaukset eivät ilmeisesti liittyneet suoraan itse tautiin tai lääkitykseen.



Turvallisuus

Kommentoijat olivat samaa mieltä Palkon kanssa turvallisuudesta. Lääkityksen ongelmat ovat samankaltaisia kuin muillakin entsyymivalmisteilla. Pitkäkestoinen keskuslaskimoyhteys on riski.

Kustannukset ja budjettivaikutukset

Toisen kommentoijan mukaan kokonaiskustannus ei ole suunaton, koska potilaita on niin vähän. Siitä huolimatta lääkkeen hinta tulee saada järkeväksi. Toinen kommentoija totesi olevansa Palkon kanssa samaa mieltä lääkkeen korkeasta hinnasta. Lisäksi hän totesi, että harvinaissairauksien hoitamiseen sisältyy paljon sellaista työtä, jota ei voi mitata rahassa.

Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena

Toisen kommentoijan mielestä keinotekoisia rajalinjoja ei tulisi vetää, vaan tarjota kaikille potilaille mahdollisuus. Toinen kommentoija totesi, että infantile-onset-potilaiden joukko on pieni ja näyttää hoidon tehosta on nyt kertymässä.

Arvio suosituksen hyödyllisyydestä asteikolla 1-5

1 kpl 3/5, 1 kpl 5/5 (paras=5)

Suosituksen ymmärrettävyys

Toinen kommentoijista piti suositusta liian yksinkertaistavana ja osoittavan, ettei tunneta alaa. Toinen puolestaan toivoi kommentteja infantile-onset-potilaiden elämänlaadusta, mutta totesi, ettei siitä ole tutkimuksia saatavilla.

