

1.9.2021

STM051:00/2020

VN/24875/2020

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA SERLIPONAASI ALFA NEURONAALISEN SEROIDILIPOFUSKINOOSI TYYPPI 2:N (CLN2) HOIDOSSA

Suositus on hyväksytty Palkon kokouksessa 1.9.2021.

Suosituksen mukaan serliponaasi alfa kuuluu kansalliseen palveluvalikoimaan neuronaalisen seroidilipofuskinoosi tyyppi 2:n (CLN2) hoidossa mikäli myyntiluvan haltija ja ostaja sopivat merkittävästä hinnanalennuksesta.

Serliponaasi alfa on tarkoitettu seroidilipofuskinoosi tyyppi 2 (CLN2) nimisen kertymäsaieron hoitoon. Serliponaasi alfa on ihmisen tripeptidyylipeptidaasi-1:n yhdistelmäproteiinin (rhTPP1) kopio, joka korvaa tämän puuttuvan entsyymin. Serliponaasi alfa annostellaan joka toinen viikko infuusiona aivokammioon kirurgisesti asennettavalla annostelulaitteella. Hoitoa voidaan jatkaa niin kauan, kun potilas hyötyy siitä. Serliponaasi alfa on tällä hetkellä ainoa hyväksytty hoito CLN2-tautiin.

Serliponaasi alfan tehoa ja turvallisuutta on tutkittu pääosin avoimessa, faasin 1/2 190-202 tutkimuksessa (n=23), jossa ei ollut vertailuryhmää. Vertailuja on tehty kansainvälisestä CLN-tautitietokannasta poimittuihin potilastietoihin. Tulosten perusteella serliponaasi alfa hidastaa taudin luonnollista kulkua. Potilaista 87 % (n=20) saavutti asetetun vasteen kun hoitoajan mediaani oli 116 viikkoa. Tuloksia terveyteen liittyvän elämänlaadun muutoksista on raportoitu rajallisesti. Vaikutuksia elossaoloaikaan ei voida vielä arvioida.

Suosituksen perusteluissa todetaan, että kliinisen näytön perusteella serliponaasi alfa hidastaa taudin luonnollista kulkua, mutta tutkimustieto vaikutuksen suuruudesta ja kestosta

on epävarmaa. Annostelutapaan liittyy merkittäviä riskejä. Hoito tulee aloittaa mahdollisimman varhain.

Suosituksessa edellytetään, että hoitavissa yksiköissä on sovittu hoidon aloittamis- ja lopettamiskriteerit sekä käytettävät arviointimenetelmät ennen hoitojen aloittamista. Hoidon jatkamisen edellytykset tulee arvioida säännöllisesti. Hoito on erittäin kallis, yli 500 000 euroa potilasta kohden vuodessa. Kustannukset julkisella tukkumyyntihinnalla olisivat kohtuuttomat, kun huomioidaan, ettei hoito ole parantava, vaan ainoastaan taudin luonnollista kulkua hidastava ja hoidon odotettuihin terveyshyötyihin liittyy epävarmuutta.

Steroidilipofuskinoosi tyyppi 2 (CLN2) on harvinainen etenevä sairaus, jonka ensimmäiset oireet ilmaantuvat toisen ja kolmannen elinvuoden aikana. Sairaus johtaa kuolemaan lapsuus- tai nuoruusiässä. Suomessa olisi mahdollisesti yksi tai korkeintaan muutamia hoitoon soveltuvia potilaita.

Tämä on tiivistelmä terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon hyväksymästä suosituksesta. Varsinaisen suosituksen ja sen taustamateriaalin löydät Palkon kotisivuilta [valmiiden suositusten sivulta](#).

Kotisivuilta löydät myös tiivistelmän [ruotsin-](#) ja [englanninkieliset](#) versiot.

Palko toimii sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä ja sen tehtävänä on antaa suosituksia terveydenhuollon menetelmien kuulumisesta julkisesti rahoitettuun terveydenhuoltoon. Lisätietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea [Palkon kotisivuilta](#).