



REKOMMENDATION OM CILTAKABTAGEN AUTOLEUCEL I BEHANDLINGEN AV AVANCERAT MULTIPLELT MYELOM

Godkänts vid Tjänsteutbudsrådets möte den 2 februari 2023

Enligt rekommendationen ingår ciltakabtagen autoleucel i det nationella tjänsteutbudet för behandling av vuxna patienter i god kondition (ECOG 0–1) med relapserande och refraktärt multipelt myelom som genomgått minst tre föregående behandlingar, inklusive behandlingar med immunmodulerare, proteasomhämmare och anti-CD38-antikropp, och vars sjukdom har förvärrats sedan den senaste behandlingen. Tjänsteutbudsrådet förutsätter att innehavaren av försäljningstillståndet och köparen avtalar om ett pris som är mycket betydligt lägre än det offentliga partiförsäljningspriset. Därtill förutsätter tjänsteutbudsrådet att innehavaren av försäljningstillståndet och den som förhandlar om priset som en del av prispförhandlingarna kommer överens om insamling och rapportering av uppföljningsdata.

Ciltakabtagen autoleucel är en genmodifierad CAR-T-cellbehandling, avsedd för behandling av vuxna patienter med relapserad och refraktärt multipelt myelom, som fått minst tre tidigare behandlingar. Europeiska kommissionen beviljade behandlingen ett villkorligt godkännande för försäljningen i maj 2022. I behandlingen modifieras patientens egna T-celler genetiskt så att de framställer ett protein som kallas chimär antigenreceptor (CAR). Efter modifieringen ges CAR-T-cellerna tillbaka till patienten som en engångsinfusion. Behandlingen omfattar en uppföljningsperiod på fyra veckor.

Forskningsbevisen grundar sig på en fas 1/2b studie (CARTITUDE-1) som saknade en jämförelsegrupp. I forskningen tilldelades 97 patienter behandling med ciltakabtagen autoleucel. Nästan alla av patienterna som tilldelades infusion fick ett terapisvar. Största delen

uppnådde fullständigt svar på behandlingen. Vid en drygt två års (28 månaders) uppföljning var fler än två av tre patienter vid liv och hos över hälften av patienterna hade sjukdomen inte framskridit.

Ciltakabtagen autoleucel har betydligt mer allvarliga skadeverkningar jämfört med andra behandlingar som används. Ungefär en femtedel av patienterna fick en för CAR-T-behandlingar typisk allvarlig cytokinfrisättningsyndrom. Hos en liten del (6%) ledde en allvarlig skadeverkning till att patienten avled.

Tjänsteutbudsrådet anser att de resultat som nåtts genom behandling med ciltakabtagen autoleucel är lovande och också kliniskt betydelsefulla med beaktande av patienternas flera tidigare behandlingar. Effekten har dock visats hos patienter i god kondition, yngre patienter och forskningsbevisen är förenade med betydande osäkerhet.

Behandlingen med ciltakabtagen autoleucel är mycket dyr. Läkemedels- och doseringskostnaderna per patient uppgår till 446 000 euro. Tilläggskostnaderna per patient överstiger 300 000 euro jämfört med en kombinerad behandling som innehåller pomalidomid. Enligt resultaten av Fimeas scenarioanalyser var kostnadseffektiviteten 108 000–135 000 €/QALY jämfört med referensbehandlingar.

Myelom är en plasmacellscancersjukdom i blodet och benmärgen, där elakartade plasma-celler (myelomceller) börjar föröka sig i benmärgen. Myelom är en obotlig sjukdom med nuvarande behandlingsmetoder, där en eventuell remissionsfas följs av att sjukdomen återkommer. År 2020 konstaterades 356 nya fall. Den genomsnittliga livslängden för dem som insjuknat i myelom är ca 7–8 år. Antalet patienter som kan behandlas med ciltakabtagen autoleucel antas vara 10–15 om året.

Detta är en sammanfattning av en rekommendation som tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården har godkänt. Själva rekommendationen och bakgrundsmaterialet finns på finska på tjänsteutbudsrådets webbplats under [färdiga rekommendationer](#).

Sammanfattningarna på [finska](#) och [engelska](#) finns också på webbplatsen.

Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården finns i anslutning till social- och hälsovårdsministeriet och har till uppgift att ge rekommendationer om vilka hälso- och sjukvårdsmetoder som ska höra till den offentligt finansierade hälso- och sjukvården. Du kan läsa mer om tjänsteutbudet inom hälso- och sjukvården på [tjänsteutbudsrådets webbplats](#).