

2.2.2023

STM051:00/2020
VN/25511/2022

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA

SILTAKABTAGEENIAUTOLEUSEELI EDENNEEN MULTIPPELIN MYELOOMAN HOIDOSSA

Hyväksytty Palkon kokouksessa 2.2.2023

Suosituksen mukaan siltakabtageeniautoleuseeli kuuluu kansalliseen palveluvalikoimaan uusiutunutta ja refraktorista multippelia myeloomaa sairastavilla hyväkuntoisilla (ECOG 0-1) aikuispotilailla, jotka ovat saaneet vähintään kolme aiempaa hoitoa, mukaan lukien immunomodulaattori, proteasomin estäjä ja CD38-vasta-aine, ja joiden tauti on edennyt viimeisimmän hoidon aikana. Palko edellyttää, että myyntiluvan haltija ja ostaja sopivat erittäin merkittävästi julkista tukkuhintaa alemmasta hinnasta. Lisäksi Palko edellyttää, että myyntiluvan haltija ja kansallinen hintaneuvottelija sopivat osana hintaneuvottelua hoidon seurantatiedon keruusta ja raportoinnista.

Siltakabtageeniautoleuseeli on geneettisesti muokattu CAR-T soluhoito, joka on tarkoitettu uusiutuneen ja hoitoon reagoimattoman multippelin myelooman hoitoon aikuisille, jotka ovat saaneet vähintään kolme aiempaa hoitoa. Euroopan komissio myönsi sille ehdollisen myyntiluvan toukokuussa 2022. Hoidossa potilaan omat T-solut ohjelmoidaan uudelleen kimeeristä antigeenireseptoria (CAR) koodaavalla transgeenillä. Muokkauksen jälkeen CAR-T-solut siirretään takaisin potilaalle kerta-annoksena annettavana infuusiona. Hoitoon liittyy neljän viikon jatkoseuranta.

Tutkimusnäyttö perustuu faasien 1b/2 CARTITUDE-1-tutkimukseen, jossa ei ollut mukana vertailuryhmää. Siltakabtageeniautoleuseelihoidon sai 97 potilasta. Lähes kaikki tutkimuksessa siltakabtageeniautoleuseeli-infuusion saaneet potilaat saivat hoidolle vasteen. Suurimmalla osalla potilaista vaste oli täydellinen. Runsaan kahden vuoden (28 kuukauden) seurannan kohdalla useampi kuin kaksi potilasta kolmesta oli elossa ja yli puolella potilaista sairaus ei ollut edennyt.

Siltakabtageeniautoleuseelilla on huomattavasti enemmän vakavia haittatapahtumia verrattuna muihin käytössä oleviin hoitoihin. Noin viidennes potilaista sai CAR-T hoidoille tyyppillisen vaikea-asteisen sytokiinioireyhtymän. Pienellä osalla (6 %) vakava haittatapahtuma johti kuolemaan.

Palkon näkemyksen mukaan siltakabtageeniautoleuseelihoidolla saavutetut tulokset ovat lupaavia ja myös kliinisesti merkityksellisiä huomioiden potilaiden useammat aiemmat hoidot. Teho on kuitenkin osoitettu hyväkuntoisilla, nuoremmilla potilailla ja tutkimusnäyttöön liittyy merkittävää epävarmuutta.

Siltakabtageeniautoleuseelihoito on erittäin kallis. Potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat 446 000 €. Hoidon lisäkustannukset potilasta kohden ovat yli 300 000 € poimialidomidia sisältävään yhdistelmähoitoon verrattuna. Fimean tekemien skenaarioanalyysien mukaan hoidon kustannusvaikuttavuus on vertailuhoitoihin verrattuna 108 000–135 000 €/QALY.

Myelooma on veren ja luuytimen plasmasolusyöpä, jossa pahanlaatuiset plasmasolut (myeloomasolut) alkavat lisääntyä luuytimessä. Se on nykyhoidoin parantumaton sairaus, jossa mahdollista elpymisvaihetta seuraa taudin uusiutuminen. Vuonna 2020 uusia myeloomatapauksia todettiin 356. Myeloomaan sairastuneiden keskimääräinen elinikä on n. 7-8 vuotta. Hoitoon soveltuvia potilaita arvioidaan olevan 10–15 vuodessa.

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](#).