

Sammandraget har samband med rekommendationen ”Kriterierna för fortsatt behandling med nusinersen”, som upphävdes den 4 februari 2022. [Länk till den uppdaterade rekommendationen.](#)

Sammanfattning av tjänsteutbudrådets rekommendation

Rekommendation om kriterier för fortsatt behandling med nusinersen

Tjänsteutbudrådet för hälso- och sjukvården (Palko) godkände vid sitt möte den 4 september 2019 en rekommendation som gäller kriterierna för fortsatt behandling med nusinersen. Under det första behandlingsåret ska läkemedlet förbättra funktionsförmågan, och därefter ska läget hållas åtminstone stabilt för att behandlingen ska kunna fortsätta.

Palko gav den 15 mars 2018 en rekommendation om behandling med nusinersen vid spinal muskelatrofi (spinal muscular atrophy, SMA). SMA är en sällsynt sjukdom, och för närvarande finns ingen behandling som botar den. Nusinersen är det första läkemedlet som gör det möjligt att inverka på sjukdomsförloppet. Palko konstaterade som sin slutsats att inledande av behandling med nusinersen skulle kunna höra till det nationella tjänsteutbudet vid behandling av sjukdomen SMA när patientens

- SMA-diagnos har gjorts före två års ålder,
- symptomen som läkaren har konstaterat har börjat hos patienten före 20 månaders ålder,
- patienten är högst 17 år,
- patienten inte är i behov av kontinuerligt andningsstöd och
- det inte föreligger något annat medicinskt hinder för behandling.

Dessutom konstaterade Palko att en förutsättning för att läkemedlet nusinersen ska tas i bruk är att priset på läkemedlet sänks.

Palko konstaterade att det på grund av bristfälliga forskningsdata är viktigt att fastställa kriterier även för fortsatt behandling, och denna rekommendation gäller de kriterierna.

Palko konstaterar att förutsättningarna för att fortsätta behandling med nusinersen bedöms första gången 12 månader efter att behandling inletts. En förutsättning för fortsatt behandling är att man på ett tillförlitligt sätt kan konstatera att läkemedlet under det första behandlingsåret har förbättrat patientens funktionsförmåga med hänsyn till personens ålder, strukturella förändringar som begränsar funktionsförmågan samt det naturliga sjukdomsförloppet.



Efter det första behandlingsåret görs med 12 månaders intervall en bedömning av huruvida behandlingen med nusinersen ska fortgå. Att det terapivar som uppnåtts under det första behandlingsåret bibehålls är ett minimikrav för att det ska vara medicinskt motiverat att fortsätta behandlingen.

Vid bedömningen av förutsättningarna för att fortsätta läkemedelsbehandlingen ska den nationella expertgruppen konsulteras, eftersom det möjliggör jämlikhet och objektivitet i grunderna för vårdbeslutet. Det egentliga vårdbeslutet fattas av den behandlande läkaren under iakttagande av i synnerhet 6 och 7 § i lagen om patientens ställning och rättigheter.

Ur medicinsk synvinkel är det nödvändigt att det kan säkerställas att läkemedelsbehandlingen ger ett terapivar som inverkar på sjukdomsförloppet. Detta skyddar patienterna från läkemedelsbiverkningar och säkerställer att hälso- och sjukvårdens resurser allokeras rätt. Forskningsdata om effekterna av nusinersen i en patientgrupp vid klinisk användning är mycket bristfälliga. En enskild patients funktionsförmåga kan dock förbättras betydligt under det första behandlingsåret. Även i dessa fall är det möjligt att terapivaret förändras med tiden, så att funktionsförmågan endast upprätthålls, eller att terapivaret förloras.

Studier i noggrant utvalda patientgrupper har visat att ju tidigare man har kunnat inleda behandling, desto mer sannolikt är det att terapivaret, som förbättrar grovmotoriken, är kliniskt betydande. I Finland har det inte konstaterats några medicinska grunder till att låta bli att inleda behandling med nusinersen i den målgrupp som anges i rekommendationen. Därför har den kliniska patientgruppen i inledningsfasen av behandlingen haft betydligt sämre funktionsförmåga än de patienter som ingått i läkemedelsstudierna, och de metoder för bedömning av funktionsförmågan som använts i läkemedelsstudierna har hos flera patienter inte varit möjliga att använda. Förändringarna i funktionsförmågan har varit mycket individuella, från kvalitativa förändringar (generellt bättre ork) till sådana betydande förbättringar av den självständiga funktionsförmågan och minskade behov av hjälp som inte skulle ha varit möjliga att uppnå utan behandling med nusinersen, om man beaktar sjukdomens normala förlopp.

En uppdatering av rekommendationen inleds senast 2021, och då beaktas de praktiska erfarenheterna av genomförandet av behandlingen och effekterna av läkemedelsbehandling med nusinersen.

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 www.palveluvalikoima.fi.

