

**Tiivistelmä liittyy suositukseen ”Nusinerseeni-jatkohoidon kriteerit”, joka on kumottu 4.2.2022. [Linkki päivitettyyn suositukseen.](#)**

Tiivistelmä Palkon suosituksesta

## Suositus nusinerseenin jatkohoidon kriteereistä

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto (Palko) hyväksyi kokouksessaan 4.9.2019 suosituksen, joka koskee nusinerseeni-hoidon jatkamisen kriteereitä. Ensimmäisen hoitovuoden aikana lääkkeen tulee parantaa toimintakykyä ja sen jälkeen tilanteen tulee pysyä vähintään vakiintuneena, jotta hoitoa voidaan jatkaa.

Palko antoi 15.3.2018 suosituksen nusinerseeni-hoidosta spinaalisessa lihasatrofia -sairaudessa (spinal muscular atrophy, SMA). SMA on harvinaissairaus, johon ei ole toistaiseksi parantavaa hoitoa. Nusinerseeni on ensimmäinen lääke, jolla on mahdollista vaikuttaa taudin kulkuun. Palko totesi johtopäätöksensä, että nusinerseeni-hoidon aloitus voisi kuulua kansalliseen palveluvalikoimaan SMA-taudin hoidossa, kun

- potilaan SMA-diagnoosi on tehty ennen kahden vuoden ikää,
- potilaan lääkärin toteamat oireet ovat alkaneet ennen 20 kuukauden ikää,
- potilas on korkeintaan 17 -vuotias,
- potilas ole pysyvän hengitystuen tarpeessa tai
- ei ole muuta lääketieteellistä estettä hoidon toteuttamiselle.

Lisäksi Palko totesi, että nusinerseeni-lääkkeen käyttöönotto edellyttää hinnanalennusta.

Palko totesi, että puutteellisen tutkimustiedon vuoksi on tärkeä asettaa myös hoidon jatkamisen kriteerit, joista Palko antaa tämän suosituksen.

Palko toteaa, että nusinerseeni-hoidon jatkamisen edellytykset arvioidaan ensimmäisen kerran 12 kuukauden kuluttua hoidon aloituksesta. Hoidon jatkaminen edellyttää, että voidaan luotettavasti todeta lääkkeen parantaneen ensimmäisen hoitovuoden aikana potilaan toimintakykyä huomioiden henkilön ikä, toimintakykyä rajoittavat rakenteelliset muutokset sekä taudin luonnollinen kulku.

Ensimmäisen hoitovuoden jälkeen nusinerseeni-hoidon jatko arvioidaan 12 kuukauden välein. Ensimmäisen hoitovuoden aikana saavutetun hoitovasteen säilyminen on vähimmäisvaatimus, jotta hoitoa on lääketieteellisesti perusteltua jatkaa.

Lääkehoidon jatkamisen edellytyksiä arvioitaessa tulee konsultoida kansallista asiantuntijaryhmää, mikä mahdollistaa yhdenvertaisuuden ja objektiivisuuden hoitopäätöksen perusteissa. Varsinaisen hoitopäätöksen tekee hoitava lääkäri noudattaen erityisesti potilaslain 6 ja 7 §:ää.

Lääketieteellisesti on välttämätöntä, että voidaan varmistaa lääkehoidolla olevan taudin kulkuun vaikuttava hoitovaste. Tämä suojaa potilaita lääkkeiden haittavaikutuksilta ja varmistaa terveydenhuollon resurssien oikean kohdistamisen. Tutkimustieto nusinerseenin vaikutuksista kliinisen käytön mukaisessa potilasryhmässä on erittäin puutteellinen. Yksittäisen potilaan toimintakyky voi kuitenkin ensimmäisen hoitovuoden aikana parantua merkittävästi. On mahdollista, että näissäkin tapauksissa hoitovaste muuttuu ajan myötä toimintakykyä ylläpitäväksi tai hoitovaste menetetään.



Tutkimukset tarkkaan valikoiduissa potilasryhmissä ovat osoittaneet, että mitä nuorempa hoito on voitu aloittaa, sitä todennäköisemmin karkeamotorista suoriutumista parantava hoitovaste on ollut myös kliinisesti merkittävä. Suomessa ei ole todettu lääketieteellisiä perusteita olla aloittamatta nusinerseeni-hoitoa suosituksen kohderyhmässä. Tästä johtuen kliininen potilasryhmä on ollut hoidon aloitusvaiheessa toimintakyvyltään merkittävästi lääketutkimuksissa mukana olleita heikompi, eikä lääketutkimuksissa käytettyjä toimintakyvyn arviointimenetelmiä ole useiden potilaiden kohdalla ollut mahdollista käyttää. Toimintakyvyn muutokset ovat olleet hyvin yksilöllisiä vaihdellen laadullisista muutoksista (yleinen jaksavuus parempi) sellaisiin merkittäviin itsenäistä toimintakykyä parantaviin ja avun tarvetta vähentäviin muutoksiin, joita ei olisi ollut mahdollista saavuttaa ilman nusinerseeni-hoitoa taudin normaali kulku huomioiden.

Suosituksen päivitys aloitetaan viimeistään 2021 ja silloin huomioidaan käytännön kokemukset suosituksen toteutuksesta ja nusinerseeni-lääkehoidon vaikuttavuudesta.

*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 [www.palveluvalikoima.fi](http://www.palveluvalikoima.fi).*

