

11.9.2023

## YHTEENVETO KOMMENTEISTA SUOSITUSLUONNOKSEEN EFGARTIGIMODI ALFA MYASTENIA GRAVIKSEN HOIDOSSA

Terveystieteiden tutkimuskeskus Palko hyväksyi kokouksessaan 4.5.2023 alustavasti suosituksen, jonka mukaan efgartigimodi alfa ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan yleistyneen myasthenia graviksen hoidossa. Suositusluonnos oli kommentoitavana otakantaa.fi-palvelussa 9.-31.5.2023.

Kommentteja saatiin kuusi kappaletta. Kommentoijat ilmoittivat edustavansa seuraavia taustaryhmiä:

- Potilas tai asiakas taikka heidän omaisensa 1 kpl
- Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö 1 kpl
- Viranomainen 4 kpl (julkisen terveydenhuollon yksiköitä)

Kommenteista neljän ilmoitettiin olevan organisaation virallisia kommentteja.

Vastaajat antoivat suositusluonnokselle yleisarvosanaksi 3,5 (1=huonoin, 5=paras). Yleisin arvosana oli 4.

Kommentit sisälsivät lukuisia tarkennus- ja korjausehdotuksia sairauden syntymekanismiin, kuvaukseen, esiintyvyyteen ja sen muutokseen, arvioitavan lääkkeen vaikutusmekanismiin sekä nykyisin käytettäviin hoitoihin.

Arvioitavaa lääkettä koskevien tutkimusten osalta useampi kommentoija totesi näytön olevan vähäinen. Teho-ero saatiin osoitettua tutkimuksessa, mutta seuranta-aika oli lyhyt. Tulosten perusteella ei voida asemoida lääkettä suhteessa vertailuhoitoihin. Vertailu muihin hoitoihin perustuu epäsuoraan vertailuun, johon liittyy epävarmuutta.

Fimean arviointiraportin mukaista 110 potilaan määrää pidettiin liian korkeana. Vain harvoilla potilailla sairaus on niin vaikea, että nykyhoitojen lisäksi tarvittaisiin muita hoitovaihtoehtoja. Koska hoidon annosteluväli, potilaiden määrä on epävarma ja koska kustannusvaikuttavuusanalyysi puuttuu, hoidon tosiasiallisten kustannusten ja budjettivaikutuksen arviointia pidettiin vaikeana.

Näytön epävarmuudesta huolimatta lääke saattaa olla yksittäiselle potilaalle tärkeä. Olisi syytä korostaa, että kaikki potilaat eivät saa hoitovastetta tavanomaisella hoidolla. Käyttöönotto sitoisi terveydenhuollon resursseja ilman, että olisi todellista kuvaa kokonaisuudesta ja vaikuttavuudesta. Potilaat saattavat joutua matkustamaan pitkiäkin matkoja saadakseen hoitoa ja hoitokerta vie

aikaa. Yhden kommentoijan mukaan lääke olisi hyväksytty käyttöön useassa maassa.

Suosituksen johtopäätösten osalta useampi kommentoija totesi niiden olevan oikean sisältöiset ja tiivistävän selkeästi keskeiset seikat. Yksi kommentoija viittasi Euroopan lääkeviraston (EMA) lääkkeelle myöntämään ehdolliseen myyntilupaan, johon liittyy velvollisuus seurata lääkkeen turvallisuutta. Myyntiluvan myöntämisen yhteydessä EMA on todennut lääkkeen hyötyjen olevan haittoja suuremmat. Kun uusia tietoja saadaan, Palkon tulisi päivittää suositustaan.

