



14.9.2023

STM023:00/2023
VN/1238/2023

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA EFGARTIGIMODI ALFA MYASTHENIA GRAVIKSEN HOIDOSSA

Suositus hyväksytty Palkon kokouksessa 14.9.2023

Efgartigimodi alfa ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan yleistyneen myasthenia graviksen hoidossa. Hoidolla saadut vasteet olivat lyhytaikaisia ja tutkimustietoa on toistaiseksi vain lyhyeltä ajalta. Siksi lääkkeen kliininen merkitys on epäselvä. Lääkkeen vertailusta muihin hoitoihin ja sen kustannusvaikuttavuudesta tarvittaisiin lisää tietoa.

Myasthenia gravis on pitkäaikainen autoimmuunisairaus, jossa hermoimpulssien kulku hermo-lihasliitoksessa on häiriintynyt. Se aiheuttaa tahdonalaisten lihasten heikkoutta ja väsyvyyttä. Pahimmillaan sairaus voi olla henkeä uhkaava. Vuoden 2022 lopussa Suomessa oli 1659 henkilöä, jotka olivat oikeutettuja myasthenia graviksen lääkkeiden erityiskorvauksiin. Uusia tapauksia raportoidaan 40-50 vuodessa. Noin 85 % potilaista sairastaa yleistynyttä myasthenia gravista.

Efgartigimodi alfa on saanut myyntiluvan myasthenia graviksen hoitoon tavanomaisen hoidon lisälääkkeenä. Se annostellaan potilaalle sairaalassa laskimoinfuusiona aluksi kerran viikossa neljän viikon ajan ja sen jälkeen kliinisen arvion mukaan.

Efgartigimodi alfan myyntilupa perustuu satunnaistettuun, kaksoissokkoutettuun tutkimukseen, jossa sitä verrattiin ns. standardihoitoon. Tutkimuksen kesto oli lyhyt, vain 26 viikkoa. Keskimääräinen hoidon kesto kummassakin tutkimushaarassa oli 152 päivää ja suurin osa potilaista ehti saamaan hoitoa vain kaksi ensimmäistä hoitosykliä.



Efgartigimodi alfaa saaneiden potilaiden vasteosuudet olivat suurempia lumehaaraan verrattuna ensimmäisten hoitajaksojen aikana AChR-vasta-ainepositiivisilla potilailla. Tutkimuksen päätulosmuuttujalla arvioituna saatiin vaatimaton, joskin asiantuntija-arvioiden mukaan kliinisesti merkittävä muutos. Vasteen kesto jäi kuitenkin lyhyeksi ottaen huomioon taudin luonteen eli vain noin kolmasosalla efgartigimodi alfaa saaneista potilaista se säilyi 12 viikkoa. Tutkimusnäytön suurin epävarmuus koskee tarvittavien hoitajaksojen määrää sekä annosteluväliä.

Lievät tai kohtalaiset haittavaikutukset olivat melko yleisiä ja ne johtuivat todennäköisesti osittain taustasairaudesta.

Efgartigimodi alfa on erittäin kallis hoito, jonka vuosittaiset potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset ovat julkisin tukkumyyntihinnoin noin 280 000 euroa. Potilasmäärästä esitetyt arviot ja siten myös kokonaisbudjettivaikutus vaihtelevat. Lääkkeen myyntiluvan haltija ei ole esittänyt kustannusvaikuttavuusanalyysia.

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](#).