

28.8.2024

## Yhteenveto valoktokogeeniroksaparvoveekki-suositusluonnoksen kommentteista

Palko hyväksyi kokouksessaan 7.5.2024 koskevan suositusluonnoksen. Tämän jälkeen luonnos oli julkisesti kommentoitavana otakantaa.fi-sivustolla 8.5 -11.6.2024.

Kommentteja antoi 1 taho, joka ilmoitti edustavansa seuraavia taustatahoa

Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö

,

Vastaukset kysymykseen, kuinka hyödyllisenä pidät ehdotettua suositusta, jakautuvat seuraavasti (1=huonoin, 5=paras)

- 1 1/1
- 2 0/1
- 3 0/1
- 4 0/1
- 5 0/1

28.8.2024

Tiivistelmä itse suositukseen tulleista kommenteista otsikoittain (vain siltä osin kuin kommentoitu):

### **Suosituksen kohden, rajaukset ja tietopohja**

Ei kommentteja

### **Terveysongelma**

Ei kommentteja

### **Arvioitava menetelmä**

Ei kommentteja

### **Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan**

Ei kommentteja

### **Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi**

Potilasnäkökulma ja hoidon tarpeellisuus

1. Pitkäaikainen hoitovaikutus: Geeniterapia, kuten BMN 270, tarjoaa mahdollisuuden saavuttaa vuosia, ehkä jopa vuosikymmeniä kestävä hoitotulos. Tämä voisi merkittävästi parantaa potilaiden elämänlaatua vähentämällä verenvuotojen määrää ja niistä johtuvia komplikaatioita, kuten nivelvaurioita ja kipua.
2. Nivelvuotojen ja nivelrikon ehkäisy: Nivelvuodoilta välttyminen ehkäisee nivelrikon syntymistä tai jo kehittyneen nivelrikon pahenemista. Tämä voi vähentää tarvetta kalliille ja hankalille ortopedisille toimenpiteille, kuten tekonivelleikkauksille.
3. Injektiohoidon korvaaminen: Geeniterapia voisi vähentää tai jopa poistaa tarpeen nykyiselle korvaushoidolle, mikä olisi suuri helpotus potilaille, joilla on vaikeuksia suonensisäisten pistosten kanssa. Tämä on erityisen tärkeää ikääntyville potilaille, joilla on heikentyneet suoni yhteydet tai muut fyysiset rajoitteet.

### **Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset**

Taloudelliset näkökohdat

Lausunnon antaja ymmärtää geeniterapian korkeisiin kustannuksiin liittyvät haasteet ja ehdottaa, että nämä olisivat ratkaistavissa neuvottelemalla lääkevalmistajien kanssa vaihtoehtoisista hinnoittelumalleista. Esimerkiksi vuosimaksuun perustuva malli, jossa hoitotulokset ja niiden kesto otetaan huomioon, voisi olla yksi ratkaisu. Lisäksi yhteistyö muiden Pohjoismaiden tai EU-maiden kanssa voisi auttaa neuvottelemaan kilpailukykyisemmän hinnan.

Nivelvuotojen ja nivelrikon ehkäisy: Nivelvuodoilta välttyminen ehkäisee nivelrikon syntymistä tai jo

28.8.2024

kehittyneen nivelrikon pahenemista. Tämä voi vähentää tarvetta kalliille ja hankalille ortopedisille toimenpiteille, kuten tekonivelleikkauksille.

### **Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat**

Ei kommentteja.

### **Johtopäätökset**

Suomen Hemofiliayhdistyksen suositus

Suomen Hemofiliayhdistys ry toivoo, että BMN 270 hyväksyttäisiin Suomessa korvattavaksi hoitomuodoksi valikoiduille vaikeaa A-hemofiliaa sairastaville potilaille. On ensiarvoisen tärkeää, että Suomi pysyy mukana verenvuotosairauksien hoidon kehityksessä ja saa omakohtaista kokemusta geeniterapian järjestämisestä ja hoidon tuloksista. Olisi erittäin valitettavaa, mikäli Suomi jäisi tässä asiassa muiden maiden varjoon. Edellä mainittujen asioiden vuoksi lausunnon antaja pyytää PALKOa harkitsemaan BMN 270 hyväksymistä kansalliseen palveluvalikoimaan.

### **Yhteenveto suosituksesta**

Ei kommentteja

### **Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta**

Tutkimustulokset ja niiden tulkinta

GENEr8-1-tutkimus osoittaa, että BMN 270-hoidolla on saavutettu merkittäviä parannuksia FVIII-aktiivisuustasoissa ja hoidettujen verenvuotojen määrän vähentämisessä. Kuitenkin hoidon vaikutuksen keston osalta on vielä epävarmuutta. Tästä syystä on tärkeää jatkaa seurantaa ja tutkimusta geeniterapian pitkäaikaisista vaikutuksista.

## **Kommenttien perusteella tehdyt muutokset**

- Palkon lääkejaosto teki kommenttien perusteella suositukseen seuraavat muutokset:
- Euroopan HTA-arvioinnin tilanne
- Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi osioon on päivitetty yrityksen toimittamat uudet julkaisut

Lääkejaoston näkemyksen mukaan suosituslause ja perustelut eivät muutu saatujen kommenttien perusteella