



27.8.2024

STM023:00/2023  
VN/33735/2023

## **SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION OM BEHANDLING AV SVÅR HEMOFILI A MED VALAKTOKOGEN-ROXAPARVOVEK (BMN 270)**

Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården godkände rekommendationen vid sitt sammanträde den 27 augusti 2024

**Valaktokogen-roxaparvovek, eller BMN 270, är ett läkemedel för genterapi som inte hör till det nationella tjänsteutbudet för behandling av svår hemofili A hos vuxna utan anamnes på antikroppar mot koagulationsfaktor VIII och utan detekterbara antikroppar mot adenoassocierat virus av serotyp 5 (AAV5).**

**Enligt tjänsteutbudsrådets uppfattning är BMN 270 en ny behandlingsform, och det saknas tillräcklig information om dess långsiktiga effekt. Som engångsbehandling är BMN 270 relativt dyr, och den kostnadseffektivitetsanalys som lagts fram är förknippad med betydande osäkerhet, särskilt gällande behandlingseffektens varaktighet.**

Valaktokogen-roxaparvovek är avsett för behandling av svår hemofili A hos vuxna patienter utan anamnes på antikroppar mot koagulationsfaktor VIII och utan detekterbara antikroppar mot adenoassocierat virus av serotyp 5 (AAV5). Hemofili A är en medfödd blödningssjukdom som orsakas av brist eller frånvaro av faktor VIII. Hemofili A är en ärftlig sjukdom som i dess svåra form förekommer nästan uteslutande hos män, och kvinnor är anlagsbärare. I Finland finns uppskattningsvis 380 personer med hemofili, och cirka 60 procent av dem har den svåra formen.

Valaktokogen-roxaparvovek (BMN 270) är ett läkemedel för genterapi som ges som en engångsinfusion till patienter med svår hemofili A. Verkningsmekanismen är baserad på humana F8-genen i virusvektorn AAV5. Vid genterapin levereras virusvektorn till leverceller. Virusvektorn frigör genen som framställer faktor VIII i cellkärnan, som börjar producera faktor VIII-protein. Faktor VIII-proteinet ersätter saknad koagulationsfaktor VIII som behövs för effektiv hemostas.



I prövningen för försäljningstillstånd minskade behandling med BMN 270 antalet blödningsepisoder per år från i genomsnitt 4,83 episoder i utgångsläget till 0,78 episoder efter första året av uppföljningen och till 0,75 episoder efter andra året. Hos prövningspersoner som fått faktor VIII-ersättningsbehandling sågs en minskning med 98,6 procent efter första året och med 98,2 procent efter andra året, jämfört med utgångsläget. Ett år efter en engångsdos av BMN 270 var medianvärdet för faktor VIII-aktivitetsnivån hos den behandlade populationen 23,92 IE/dl. Motsvarande värde vid två år var 11,65 IE/dl. Vid tre år var medianvärdet för faktor VIII-aktivitetsnivån 8,4 IE/dl.

Blödningsepisoder efter behandling med BMN 270 jämfördes indirekt med faktor VIII-ersättningsbehandling och emicizumab. Skillnaderna i antalen blödningsepisoder per år vid faktor VIII-ersättningsbehandling var jämförbara med prövningen för försäljningstillstånd för genterapi. Även jämfört med behandling med emicizumab var antalet blödningsepisoder mindre vid behandling med BMN 270. Samtliga patienter i prövningen för försäljningstillstånd upplevde minst en incident under första året av prövningen. Den mest betydande risken är att behandling med BMN 270 kan orsaka leverskada, som kräver behandling med kortikosteroider.

I Finland finns 380 patienter med hemofili A, av vilka 46 personer beräknas vara lämpliga kandidater för behandling med BMN 270. Av dem skulle 25 personer bli behandlade under de första fem åren. Läkemedelskostnaderna för genterapin är betydligt högre än de årliga kostnaderna per patient för ersättningsbehandling och behandling med emicizumab. Genterapin ger upphov till en engångskostnad i början av behandlingen, medan kostnaderna för regelbunden behandling av hemofili A uppkommer över tid. Eftersom det inte finns säkerhet om behandlingseffektens varaktighet är också behandlingens budgetpåverkan oklar.

Detta är en sammanfattning av en rekommendation som tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården har godkänt. Själva rekommendationen och bakgrundsmaterialet finns på finska på tjänsteutbudsrådets webbplats under [valmiit suositukset](#).

Sammanfattningarna på [svenska](#) och [engelska](#) finns också på webbplatsen.

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](#).

