



27.8.2024

STM023:00/2023

VN/33735/2023

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA VALOKTOKOGEENIROKSAPARVOVEEKKI (BMN 270) VAIKEAN A-HEMOFILIAN HOIDOSSA

Suositus hyväksytty Palkon kokouksessa 27.8.2024

Geeniterapiavalmiste valoktokogeeniroksaparvoveekki eli BMN 270 ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan vaikean A-hemofilian hoidossa aikuisilla, joilla ei ole aiemmin ollut tekijän VIII inhibiittoreita tai havaittavia vasta-aineita adenoassioidun viruksen serotyypille 5 (AAV5).

Palkon näkemyksen mukaan BMN 270 on uudenlainen hoitomuoto, jonka pitkän aikavälin vaikutuksista ei toistaiseksi ole riittävästi tietoa. Kertaluonteisena hoitona BMN 270 on varsin kallis ja esitettyyn kustannusvaikuttavuusanalyysiin liittyy huomattavaa epävarmuutta erityisesti hoidon vaikutuksen keston osalta.

Valoktokogeeniroksaparvoveekki on tarkoitettu vaikean hemofilia A:n hoitoon aikuispotilaille, joilla ei ole aiemmin ollut hyytymistekijän VIII (FVIII) inhibiittoreita tai havaittavia vasta-aineita adenoassioidun viruksen serotyypille 5 (AAV5). A-hemofilia on synnynnäinen verenvuotautauti, joka johtuu FVIII toiminnan vajeesta tai täydellisestä puutoksesta. A-hemofilia on periytyvä sairaus, jonka vakavia tautimuotoja on lähes yksinomaan miehillä ja naiset ovat kantajia. Suomessa A-hemofiliaa sairastavia arvioidaan olevan 380, joista noin 60 % sairastaa vaikeaa tautimuotoa.

Valoktokogeeniroksaparvoveekki (BMN 270) on kertainfuusiona annosteltava geeniterapiahoito, joka on tarkoitettu vaikeaa A-hemofiliaa sairastaville potilaille. Sen toimintamekanismi perustuu AAV5-virusvektorin sisältämään ihmisen F8 geeniin. Geeniterapiahoitoa annosteltaessa virusvektori tarttuu maksasoluihin. Virusvektori vapauttaa FVIII:ä valmistavan geenin solujen tumassa, joka käynnistää FVIII-proteiinin valmistuksen. FVIII-proteiini korvaa puuttuvan hyytymistekijä VIII:n, jota tarvitaan tehokkaaseen verenvuotojen tyrehdyttämiseen.



Myyntilupatutkimuksessa BMN 270-hoito laski hoidettujen verenvuotojen vuosittaista määrää lähtötilanteen keskimääräisestä 4,83 vuotojaksosta 0,78 vuotojaksoon ensimmäisen seuranta-vuoden ja 0,75 vuotojaksoon toisen seurantavuoden jälkeen. Tutkimuspotilailla todettiin FVIII-korvaushoidon käytössä 98,6 %:n lasku ensimmäisen vuoden jälkeen ja 98,2 %:n lasku toisen vuoden jälkeen lähtötilanteeseen verrattuna. Vuoden kuluttua BMN 270 kerta-annoksesta hoi-topopulaation FVIII-aktiivisuuden mediaani oli 23,92 IU/dl ja toisena seurantavuotena vastaava arvo oli 11,65 IU/dl. Kolmantena vuonna FVIII-aktiivisuuden mediaani oli 8,4 IU/dl.

Epäsuorien vertailujen avulla BMN 270-hoidon jälkeisiä verenvuotojaksoja verrattiin FVIII-korvaushoitoon ja emisitsumabiin. FVIII-korvaushoidossa verenvuotojen vuosittaisten määrien erot olivat verrattavissa geenihoidon myyntilupatutkimukseen. BMN 270-hoidolla oli myös emisitsumabihoitoon verrattuna vähäisempi määrä verenvuotojaksoja. Kaikki myyntilupatutkimuksen potilaat kokivat vähintään yhden haittatapahtuman ensimmäisen tutkimusvuoden aikana. Merkittävimmäksi havaituksi riskiksi tunnistettiin BMN 270-hoidon jälkeiset maksahaitat, jotka edellyttävät kortikosteroidihoitoa.

Suomen 380 A-hemofiliapotilaasta arvioidaan 46 potilaan soveltuvan BMN 270-hoitoon ja heistä yhteensä 25 hoidettaisiin ensimmäisen viiden vuoden kuluessa. Geenihoidon lääkekustannukset ovat huomattavasti korvaus- ja emisitsumabi-hoitojen potilaskohtaisia vuositasoja korkeammat. Geenihoidon kustannukset aiheutuvat välittömästi hoidon alussa kertaluonteisesti, kun taas säännöllisen A-hemofiliahoitojen kustannukset kertyvät ajan kuluessa. Hoidon vaikutuksen keston ollessa epävarma myös pitkän aikavälin budjettivaikutus jää epävarmaksi.

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.

Lisä-tietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea [Palkon kotisivuilta](#).



Sosiaali- ja
terveysministeriö