



23.9.2024

STM023:00/2023  
VN/25788/2023

## SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION OM BEHANDLING AV HEMOFILI B MED ETRANAKOGEN-DEZAPARVOVEK (AMT-061)

Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården godkände rekommendationen vid sitt sammanträde den 23 september 2024

**Etranakogen-dezaparvovek, eller AMT-061, är ett genterapiläkemedel som inte hör till det nationella tjänsteutbudet för behandling av svår eller medelsvår hemofili B hos vuxna utan faktor IX-inhibitorutveckling. Enligt tjänsteutbudsrådets uppfattning är AMT-061 en ny behandlingsform, och det saknas tillräcklig information om dess långsiktiga effekt. Som engångsbehandling är AMT-061 mycket dyr, och den kostnadseffektivitetsanalys som lagts fram är förknippad med betydande osäkerhet, särskilt gällande behandlingseffektens varaktighet.**

Etranakogen-dezaparvovek (AMT-061) är ett genterapiläkemedel avsett för behandling av svår eller medelsvår hemofili B hos vuxna utan anamnes på faktor IX-inhibitorer. Hemofili B är en medfödd blödningssjukdom som orsakas av brist eller frånvaro av koagulationsfaktor IX (FIX). Hemofili B är en ärftlig sjukdom som i dess svåra form förekommer nästan uteslutande hos män, och kvinnor är anlagsbärare. Det är fråga om en sällsynt sjukdom; uppskattningsvis 1:20 000 pojkar föds med hemofili B.

Etranakogen-dezaparvovek (AMT-061) är ett genterapiläkemedel som utgörs av en viral vektor med kopior av den gen som framställer FIX. Vid genterapin levereras virusvektorn till leverceller. Virusvektorn frigör sedan genen som framställer FIX i cellkärnan, som börjar producera faktor IX-protein.

I prövningen för försäljningstillstånd hade 37 procent av patienterna blödningsepisoder under året efter behandlingen, då behandlingsresponsen för genterapi med AMT-061 stabiliserats vid 6–18 månader, jämfört med att 74 procent av patienterna hade episoder före behandlingen. Vid 18 månader efter behandlingen upplevde 50 procent av patienterna blödningsepisoder.



Patienter på FIX-ersättningsterapi upplevde i genomsnitt fyra blödningsepisoder per år, medan den årliga blödningsfrekvensen var 1,5 efter genterapin med AMT-061. Skillnaderna i den årliga blödningsfrekvensen före genterapin och vid tre år efter den var statistiskt signifikanta. Före genterapin var det totala antalet blödningsepisoder 136 per sex månader, jämfört med 55 under första året, 48 under andra året och 37 under tredje året. Minskningen av den årliga frekvensen av spontana blödningar och ledblödningar var också statistiskt signifikant. Utfallet för sekundära effektmått stödde bevisningen för genterapins effekt; genterapin konstaterades ha höjt de endogena FIX-aktivitetsnivåerna och behovet av FIX-ersättningsbehandling hade minskat betydligt. Variablerna var i stort sett oförändrade under de tre år som uppföljningen omfattade. Trots de uppmätta positiva kliniska effekterna, upplevde patienterna ingen förändring i livskvaliteten.

Samtliga patienter i prövningen för försäljningstillstånd upplevde minst en incident. Biverkningarna var för det mesta lindriga eller medelsvåra. Svåra biverkningar rapporterades för fyra procent av patienterna. De vanligaste rapporterade biverkningarna var ledvärk, huvudvärk, nasofaryngit, trötthet och ökning av alaninaminotransferas. Samtliga patienter som fick genterapi konstaterades ha förhöjda antikroppar riktade mot virusvektorn. En av riskerna med genterapin kan vara att vektorintegration i cellerna kan orsaka malignitet i vävnaderna.

Den största nyttan av genterapi med AMT-061 uppkommer över tid genom sparade kostnader för FIX-ersättningsbehandlingar. Den största osäkerhetsfaktorn är behandlingseffektens varaktighet. Innehavaren av försäljningstillståndet har modellerat behandlingseffektens varaktighet över 59 år. Data från observationer av behandlingseffekten omfattar däremot endast 3–4 år. Kostnaderna per patient för behandling med AMT-061 per patient (2,8 miljoner euro) är över tio gånger högre än årskostnaderna för FIX-ersättningsbehandling (årligen ca 216 000 € per patient) enligt offentliga listpriser.

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](#).