



23.9.2024

STM023:00/2023

VN/25788/2023

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA ETRANAKOGEENIDETSAPARVOVEEKKI (AMT-061) B-HEMOFILIAN HOIDOSSA

Suositus hyväksytty Palkon kokouksessa 23.9.2024

Geeniterapiavalmiste etranakogeenidetsaparvoveekki eli AMT-061 ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan vaikean ja kohtalaisen vaikean B-hemofilian hoidossa aikuisilla, joille ei ole kehittynyt FIX-vasta-aineita. Palkon näkemyksen mukaan AMT-061 on uudenlainen hoitomuoto, jonka pitkän aikavälin vaikutuksista ei toistaiseksi ole tietoa. Kertaluonteisena hoitona AMT-061 on erittäin kallis ja esitettyyn kustannusvaikutus-analyysiin liittyy huomattavaa epävarmuutta erityisesti hoidon vaikutuksen keston osalta.

Etranakogeenidetsaparvoveekki (AMT-061) on tarkoitettu vaikean ja kohtalaisen vaikean B-hemofilian hoitoon aikuisille, joilla ei todistettusti ole kehittynyt FIX-vasta-aineita. B-hemofilia on synnynnäinen verenvuototauti, joka johtuu hyytymistekijä IX:n (FIX) toiminnan vajeesta tai täydellisestä puutoksesta. B-hemofilia on periytyvä sairaus, jonka vakavia tautimuotoja on lähes yksinomaan miehillä ja naiset ovat kantajia. Kyseessä on harvinaissairaus ja on arvioitu, että 1:20 000 syntyneestä poikalapsesta sairastaa B-hemofiliaa.

Etranakogeenidetsaparvoveekki (AMT-061) on geeniterapiavalmiste, joka koostuu virusvektorista, joka sisältää kopioita FIX:ä valmistavasta geenistä. Geeniterapiahoitoa annosteltaessa virusvektori tarttuu maksasoluihin. Tämän jälkeen virusvektori vapauttaa FIX:ä valmistavan geenin solujen tumassa, joka käynnistää FIX-proteiinin valmistuksen.

Myyntilapatutkimuksessa AMT-061-geenihoidon vasteen stabiloiduttua 6–18 kuukautta hoidon saamisesta verenvuototapauksia ilmeni vuoden aikana 37 %:lla potilaista, kun ennen hoitoa verenvuototapauksia ilmeni 74 %:lla potilaista. Puolentoista vuoden kuluttua hoidosta verenvuototapauksia ilmeni 50 %:lla potilaista. Potilaiden ollessa FIX-korvaushoidolla he saivat keskimäärin 4 verenvuotoa vuosittain, kun taas AMT-061-geenihoidon jälkeen keskimääräisten



verenvuotojen vuosittainen määrä oli 1,5. Erot vuosittaisissa vuotomäärissä ennen geenihoidoa ja 3 vuotta sen jälkeen olivat tilastollisesti merkitseviä. Vuotojen kokonaismäärä ennen geenihoidon alkua oli 136/6kk ja hoidon jälkeen vuotoja ilmaantui 55 1.vuoden, 48 2. vuoden ja 37 3.vuoden aikana. Myös spontaanien verenvuotojen ja nivelvuotojen vuosittainen määrä laski tilastollisesti merkitsevästi. Toissijaisilla lopputulosmuuttujilla saadut tulokset tukivat geenihoidon tehonäyttöä; elimistön FIX-aktiivisuustasojen havaittiin lisääntyneen geenihoidon seurauksena ja FIX-korvaushoitoja tarvittiin huomattavasti vähemmän. Muuttujat ovat säilyneet samankaltaisina kolmen vuoden seuranta-ajan puitteissa. Huolimatta kliinisillä lopputulosmittareilla havaituista parannuksista, ei potilaiden kokemassa elämänlaadussa havaittu muutosta.

Kaikki myyntilupatutkimuksiin osallistuneet potilaat kokivat vähintään yhden haittatapahtuman. Valtaosa haitoista oli lieviä tai keskivaikeita. Vaikeita haittoja raportoitiin 4 %:lla potilaista. Yleisimmin raportoidut haittavaikutukset olivat nivelkipu, päänsärky, nenänieluntulehdus, uupumus ja alaniiniaminotransferaasi-tason kohoaminen. Kaikilla geenihoidoa saaneilla potilailla havaittiin pitkäkestoinen vasta-ainepitoisuuksien kohoaminen virusvektorille. Geeniterapiahoitojen riskeihin saattaa liittyä, että soluihin integroituaan virusvektori voi aiheuttaa kudoksissa pahanlaatuisia muutoksia.

Suurin hyöty AMT-061-geenihoidosta muodostuu vuosien aikana säästyneistä FIX-korvaushoidon kuluista. Suurin epävarmuustekijä on geenihoidon vaikutuksen kesto. Myyntiluvan haltijan mallissa hoidon vaikutuksen kesto on arvioitu 59 vuoden päähän. Hoitovaikutuksen kestosta ei kuitenkaan toistaiseksi ole olemassa havaintoaineistoa kuin 3–4 vuodelta. AMT-061-hoidon potilaskohtaiset kustannukset (2,8 miljoonaa €) ovat yli kymmenkertaiset FIX-korvaushoidon vuotuisiin kustannuksiin (noin 216 000 €/potilas/vuosi) julkisilla listahinnoilla.

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