

Yhteenveto elranatamabi suositusluonnoksen kommenteista

Palko hyväksyi kokouksessaan 23.9.2024 koskevan suositusluonnoksen. Tämän jälkeen luonnos oli julkisesti kommentoitavana otakantaa.fi-sivustolla 24.9.-22.10.2024.

Kommentteja antoi 2 tahoa, jotka ilmoittivat edustavansa seuraavia taustatahoa

Potilaita tai asiakkaita edustava järjestö 1/2

Terveystieteiden tutkimuskeskus 1/2

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

1 0/2

2 1/2

3 0/2

4 1/2

5 0/2

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

Terveysongelma

Pohjoismaisen syöpärekisterin (Nordcan) mukaan tällä hetkellä myeloomaa sairastavista potilaista on 5 vuoden kuluttua elossa keskimäärin 52 %, kun vastaava luku akuutissa myelooisessa leukemiassa (AML) on 30 % ja akuutissa lymfaattisessa leukemiassa (ALL) 49 %. Nykyhoidoista huolimatta lähes puolet myeloomapotilaista ei kuitenkaan saavuta 5 vuoden elinaikaa, ja vajaa kolmannes heistä kuolee vuoden sisällä diagnoosista.

Suomi pärjää myelooman hoidossa muita pohjoismaita huonommin. Suomessa myeloomaa sairastuneista naisista on elossa 5 vuoden kuluttua 55.7 %, kun muissa pohjoismaissa elossa on 65.9 % naisista. Vastaavasti myeloomaa sairastavista suomalaisista miehistä on elossa 5 vuoden kuluttua 47 % ja muissa pohjoismaissa 63.9 %.

11.11.2024

Triplarefraktaarin myelooman hoitoon ei nykyisin käytössä olevat lääkkeet riitä. Myeloomassa vastustuskyky CD38 - vasta-aineelle kehittyi keskimäärin 4.1 vuodessa, ja sen myötä potilaiden elossaolon mediaaniaika oli 8.6 kuukautta.

Jos potilaat olivat ns. pentarefraktaareja, eli vastustuskykyisiä CD38 - vasta-aineen lisäksi kahdelle eri proteasomin estäjälle ja kahdelle eri immunomodulaattorille, elinajan mediaani oli vain 5.6 kuukautta.

Vaikka myelooma todetaan yleensä noin 65–70 vuoden iässä, osa sairastuvista on merkittävästi nuorempia ja heistä 10% alle 55-vuotiaita. Viiden vuoden keskimääräinen elossa olo diagnoosista on lyhyt, potilaan iästä riippumatta. Myeloomapotilaan hoitokaaren kokonaisuudessa edetään vaiheittain, taudin aktivoitumisvaiheita harkituilla lääkeyhdistelmillä hoitaen, huomioiden tehon lisäksi niiden yksilöllinen siedettävyyttä. Erityisesti nuorempien myeloomapotilaiden pitkäaikaisselviytymisen kannalta kynnyskysymykseksi nousee myöhempään hoitolinjoihin tarkoitettujen uusilla mekanismeilla toimivien lääkkeiden saatavuus.

Arvioitava menetelmä

Elranatamabin näytönaste verrattuna muihin neljännen linjan hoitoihin

Relevantteja hoitovaihtoehtoja myelooman neljänteen tai myöhempään hoitolinjaan ovat CAR T-soluhoidot, BCMA-vasta-aine-lääkeaine-konjugaatti belantamabi-mafodotiini, selineksori (yhdessä deksametasonin kanssa) sekä muut bispesifiset vasta-aineet (teklistamabi ja talketamabi).

CAR T- soluhoidot, siltakabtagenei-autoleuseeli (Carvykti)

Palko hyväksyi vuonna 2022 Carvyktin käyttöön faasin 2 näytön perusteella. Valmisteen on tarkoitettu edenneen myelooman hoitoon aikuispotilailla, jotka ovat saaneet vähintään kolme aikaisempaa hoitoa, mukaan lukien hoito immunomodulaattorilla, proteasomin estäjällä ja CD38 vasta-aineella, ja joiden tauti on edennyt viimeisimmän hoidon aikana. Carvyktin indikaatio on sama kuin elranatamabin. Elranatamabista saatu näytönaste on verrattavissa Carvyktin tehosta ja turvallisuudesta saatuaan näyttöön faasin 1b/2 CARTITUDE-1-tutkimuksessa sen ensimmäisen 28 kuukauden seuranta-ajalta.

Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan

Hoitovaihtoehdot Suomessa loppuvat liian aikaisessa vaiheessa

Triplarefraktaareissa taudeissa voidaan luonnollisesti kokeilla myös ns. vanhoja solunsalpaajahoitoja, mutta ne eivät ole aidosti realistinen hoitovaihtoehto, sillä hoidon tässä vaiheessa ne eivät ole yleensä enää siedettyjä ja/tai tehoavia. Sama koskee pentarefraktaarisia tauteja (teho menetetty myös karfiltsomibille ja pomalidomidille), joissa ainoaksi hoitomahdollisuudeksi jää hoitoyritys solunsalpaajilla, jos bispesifisiä vasta-aineita ei voida käyttää. Koska myelooma on aina koko kehon tauti, sädehoidolla ei ole mitään roolia hoitoresistentin myelooman hoidossa, lukuun ottamatta mahdollista paikallista palliatiivista kipusädehoitoa.

Suomen myelooma-asiantuntijoiden näkemys

Bispesifisten vasta-aineiden ja CAR T-soluhoidon teho perustuu vaikutusmekanismeihin, jotka ovat täysin uudet verrattuna niihin, joilla kaikki aikaisemmat myeloomalääkkeet toimivat.

Näillä hoitokeinoilla potilaan omat terveet T-solut valjastetaan tuhoamaan potilaan myeloomasoluja (puhutaan T-soluja uudelleen suuntaavista hidoista, T-cell redirection therapies).

Tähän, jopa mullistavana pidettyyn, vaikutusmekanismiin pohjautuu se, että muulle hoidolle vastustuskykyiseksi muuntuneessa myeloomassa (tripla- tai penta-refraktaari tauti), jonka ennuste on vuosi tai alle, voidaan merkittäväällä osalla potilaista saavuttaa vielä pitkäkestoisia hyviä hoitovasteita, hallittavissa olevin haitoin.

- Tämä ei kuitenkaan tarkoita sitä, että näiden lääkkeiden käytön viisain ja oikea ajankohta olisi ns. loppuun palaneissa ja muulle hoidolle täysin resistentiksi muuntuneissa tilanteissa, joissa näistä immunologisista hidoista odotettavissa oleva hyöty on oletetusti rajallisempi.

Myeloomaryhmä pitää CAR T- soluhoidoa ja bispesifisiä vasta-ainehoitoja lupaavina ja tehokkaina hoitoina niihin soveltuville potilaille tilanteessa, jossa tauti on muuttunut refraktaariksi immunomodulaattoreille, proteasomin estäjille ja CD38 - vasta-aineille.

Refraktaarin myelooman hoitovaihtoehtoihin tarvitaan sekä BCMA- että GPRC5D- kohdennettu bispesifinen vasta-aineet, joiden tulee kuulua julkiseen palveluvalikoimaan.

Vaikuttavuus ja turvallisuus

MagnetisMM-3 tutkimus, elossaolo

MagnetisMM-3 tutkimus on yhden haaran tutkimus, sillä vertaileva tutkimus on ollut mahdoton toteuttaa vertailuhaaran asianmukaisen lääkevaihtoehdon puuttuessa.

Tutkittava potilasjoukko on muodostunut pitkälle edenneistä refraktaaria myeloomaa sairastavista potilaista, joiden hoidolliseen tilanteeseen ei ole olemassa yksiselitteistä vaihtoehtoista hoitoa.

Vertailuhaaran valinnan haastavuutta kuvaa se, että tutkimusasetelmaa vastaavassa hoidollisessa tosielämän (RWD, real world data) tilanteessa LocoMMotion - tutkimuksessa (Mateos et al, Leukemia 2022) 248 potilasta sai hoitoa yhteensä 92:lla eri lääkeyhdistelmällä.

Elossaoloaika MagnetisMM-3 vastaavilla tosielämän potilailla oli Gandhin tutkimuksessa (Gandhin et al, Leukemia 2019;33:2266) triplarefraktaarien potilaiden osalta mediaani elossaoloaika oli 11.2 kuukautta ja pentarefraktaarien 5.6 kuukautta. LocoMMotion tutkimuksessa (Mateos et al, Leukemia 2022) triplarefraktaarien (ja jotka eivät olleet penta-exposed) etenemisvapaa elossaoloaika (PFS) oli vain 4.6 kuukautta ja elossaoloajan mediaani 12.4 kuukautta. Pentarefraktaaritalanteessa etenemisvapaa elossaoloaika oli 2.5 kuukautta ja mediaani elossaoloaika vain 7.6 kuukautta

11.11.2024

Suomen FINMYELOMA - tutkimuksessa vastaavassa hoidollisessa tilanteessa olevilla 51 potilaalla oli ollut käytössään 30 erilaista lääkehoitoyhdistelmää.

Ranskassa tutkimusten ulkopuolella elranatamabihoidettujen refraktaarista myeloomaa sairastavien potilaiden hoitotuloksien epäsuoraan vertaamiseen oli hyödynnetty usean toisen maan tosielämän potilaiden hoitotietokantoja (Costa et al, EHA (European Hematology Association) Annual Meeting 2024, P906). Suomen tietokantaan verrattuna Ranskassa elranatamabilla hoidettujen potilaiden PFS:n (progression free survival; elossa olo ilman taudin etenemistä) riskisuhde (HR, hazard ratio) oli 0.52–0.72 ja elossaolon HR 0.62.

MagnetisMM-3 tutkimuksen jatkoseurannassa, noin 28 kuukauden mediaaniseuranta-ajalla (Tomasson et al, HemaSphere 2024;8:e136), elranatamabia saaneiden potilaiden elossaolo ilman taudin etenemistä (PFS) oli 17.2 kuukautta ja elossaoloaika 24.6 kuukautta. Merkittävää on myös se, että kaksi vuotta hoidon aloittamisesta MagnetisMM-3-tutkimuksen potilaiden mediaania elossaoloajalle ennen taudin etenemistä ei ollut saavutettu (2 vuoden tilanne, 66.9% [95% CI, 54.4-76.7]; Mohty ym. 2024).

Aikaisemmista myeloomatutkimuksissa on osoitettu, että negatiivinen jäännöstauti (MRD, minimal residual disease) korreloi pidentyneeseen elossaoloaikaan.

Tässä tutkimuksessa jäännöstautia seurattiin vain osalla täydellisen tai sitä paremman vasteen saavuttaneista ja heistä jäännöstautinegatiivisuuden raja-arvolla 10⁻⁵ saavutti 21 % potilaista, mikä on huomionarvoinen tulos.

MagnetisMM-3 tutkimuksessa hoitovasteen saavutti 61 % potilaista ja täydellisen (CR, complete response) tai sitä paremman vasteen 37.4 %.

Tutkimuksessa hoitovasteen saavutti odotetusti useammin ne potilaat, joilla ei ollut tunnettuja huonon ennusteen merkkejä.

Myös suuren riskin potilaat (ISS III, ekstramedullaarinen tauti, pentarefraktaari tauti) saivat vasteita. Pentarefraktaareista potilaista vasteen sai 46.2 % kun kaikkien muiden potilaiden keskuudessa vasteen saavutti 71 % potilaista.

Ekstramedullaarinen tauti on hyvin hoitoresistentti ja tässäkin tutkimuksessa ne potilaat, joilla tauti oli levinnyt luumytilmen ulkopuolelle, saivat hoitovasteen harvemmin (38.5 %) kuin ne, joilla ei ollut luumytilmen ulkopuolista tautia (71.4 %)

Huomionarvoista on kuitenkin se, että hoitovasteen saavuttaneista ekstramedullaarista tautia sairastavista potilaista vaste säilyi 77.9 %:lla 15 kuukauden seurannassa. Ilman ekstramedullaarista tautia sairastavien hoitovaste samana aikana säilyi 70.6 %:lla potilaista. Se, että saavutettu hoitovaste säilyy tässä erittäin huonoennusteisessa potilasryhmässä, on merkittävä löydös ja antaa toivoa tälle aggressiivisen alaryhmän potilaille.

Mol et al on julkaissut työn (Leukemia & Lymphoma 2024;65:660–668), jossa on verrattu elranatamabin tehoa teklistamabin tehoon analysoimalla MagnetisMM-3 ja MajesTEC-1

tutkimuksia keskenään. Suora elranatamabin ja teklistamabin vertailu MagnetisMM-3 ja MajesTEC-1 tutkimusten pohjalta ei ole mahdollinen mm. potilaspopulaatioiden eroavaisuuksien vuoksi. MagnetisMM-3 tutkimuksessa oli mukana ECOG suorituskyykyluokaltaan myös huonompikuntoisia potilaita (ECOG 2 tai yli). MagnetisMM-3 tutkimuksessa olevilla potilailla esiintyi myös enemmän ekstramedullaarista tautia ja potilaista suurempi osa oli tripla- tai pentarefraktaareja. Näistä eroavaisuuksista huolimatta elranatamabiryhmässä hoitovasteen saavuttaneita oli enemmän, 75.5 % potilaista, kun osuus teklistaryhmässä oli 63 % (kerroinsuhde 1.79). Elranatamabiryhmässä myös hieman useampi potilas saavutti täydellisen (CR) tai sitä paremman hoitovasteen (43 % vs. 39 %).

Suomessa on elranatamabiin liittyviä käyttökokemuksia kolmen tutkimuksen osalta (MagnetisMM-5, -7 ja -32) ja early- access-ohjelmasta yli 30 potilaasta ja tulokset ovat olleet erittäin lupaavia. Potilaat ovat saaneet nopean hoitovasteen, pääosin CR-tasoisena (3 potilaalla ei vastetta ja hoito lopetettu muutamassa kuukaudessa) ja vasteen kesto jatkuu pisimpien seuranta-aikojen ollessa n. 1.5 vuotta. Hoidon alkun liittyvä CRS on ohittunut nopeasti. Yksi potilas sai vakavan neurologisen haitan (Guillan-Barre), ja hoito keskeytettiin, mutta potilas ehti saada yhden kuurin ja on sen jälkeen ollut MRD-negatiivisessa CR-vasteessa. Potilaat ovat olleet infektiokerkii, mutta pääosa infektoista on ollut kotihoitoisia hengitystieinfektioita.

Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset

Myeloomassa elranatamabin hoitovaste ilmenee hyvin nopeasti, 1–2 ensimmäisen kuukauden aikana hoidon aloituksesta. Jos potilas ei saa lääkkeelle vähintään osittaista hoitovastetta (PR, partial response), se havaitaan nopeasti, jo kahden ensimmäisen kuukauden aikana. Jos vastetta ei saada tai saavutettu vaste menetetään, hoito lopetetaan eikä tehotonta lääkettä jatketa. Tehottomaksi osoittautuneesta lääkkeestä ei näin aiheudu turhia pitkittyneitä kustannuksia. Samaan aikaan hoidolle soveltuvat ja hoidolle vastaavat potilaat saadaan todennäköisesti elossa oloa pidentävän hoidon piiriin.

Bispesifisten lääkkeiden nykykäytölle on tyypillistä, että kun potilas saavuttaa hyvän vasteen lääkkeen annostelua harvennetaan klinikon toimesta, mikä laskee hoidon kustannuksia ilman että hoitovaste huononee. Myös elranatamabin myöhemmissä tutkimuksissa (mm. MagnetisMM-32) annostelu harvenee muutaman alkukuukauden jälkeen kerran kuukaudessa annosteluun.

Huomionarvoista on, että suurin osa nykyisistä myeloomahoidoista, mukaan lukien bispesifiset vasta-ainehoidot, voidaan alkuvaiheen sisäänajon jälkeen toteuttaa poliklinisesti, mikä vapauttaa sairaaloiden vuodeosastoresursseja.

Myeloomaryhmä edellyttää, että hoitojen hinnat lasketaan sellaisiksi, että hoidot olisivat saatavilla tasapuolisesti niihin soveltuville.

Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat

On totta, että elranatamabihoidon kohteena olevien potilaiden ennuste on erittäin rajallinen - josko vuottakaan - tällä hetkellä käytössä olevin lääkkein. MagnetisMM-3 ja MagnetisMM-1 tutkimuksen

11.11.2024

tulokset, ja myös rajallinen suomalaisten hematologien käytännön kokemus elranatamabin käytöstä kuitenkin osoittaa, että osa kaikille muille lääkkeille reagoimattomista myeloomapotilaista saa pitkäkestoisen hyvän, jopa täydellisen, hoitovasteen elranatamabille. Kyseessä on siis lääke, joka tehotessaan voi kokonaan kääntää potilaan sairauden suunnan pitkäksi aikaa. On ongelmallista arvioida kaikki tämän hetken standardihoidoille hoitoresistenteiksi käyneet potilaat sellaisiksi, joita ei ns. enää hyödytä hoitaa tai todellisten hoitovaihtoehtojen puuttuessa valita klinikon jo valmiiksi tehottomaksi arvioiva lääkeyhdistelmä. Osa tripla- ja pentarefraktaareista myeloomapotilaista on edelleen hyvin toimintakykyisiä ja hyväkuntoisia, ja lisähoidoille sekä soveltuvia että halukkaita. Harva hyväkuntainen uusiutunutta syöpää/myeloomaa sairastava hyväksyy ajatuksen menehtymisestä tautiin kuukausien sisällä tietäessään, että mahdollisesti selvästi elinaikaa pidentävää hoitoa/lääkitystä olisi tarjolla.

Kaikkiin myeloomahoitoihin liittyy merkittäviä haittavaikutuksia ja tässä suhteessa bispesifinen vasta-ainehoito ei poikkea muista myeloomalääkkeistä. Osa haittavaikutuksista on tälle lääkeryhmälle ominaisia, mutta lääkkein (esilääkkeet ja muut lääkkeet) hallittavissa. Myeloomaan käytettävien bispesifisten vasta-aineiden haittavaikutukset ovat rinnastettavissa muissa taudeissa käytettävien bispesifisten vasta-aineiden haittavaikutuksiin. Näistä vanhin on akuuttiin lymfaattiseen leukemiaan käytetty blinatumomabi, joka on ollut markkinoilla jo 10 vuoden ajan ja jonka käytön yhteydessä esiintyvien bispesifisille vasta-aineille tyypillisten haittavaikutusten hoitoon suomalaiset hematologit ovat tottuneet ja oppineet.

Myeloomaryhmän näkemyksen mukaan elranatamabihoidolla mahdollisesti saavutettavat hyödyt ylittävät reilusti siihen mahdollisesti liittyvät haitat.

On totta, että MagnetisMM-3 tutkimuksen lopullista elinaikahyötyä ei ole vielä tiedossa. Tutkimuksen jatkoseuranta-ajalta on kuitenkin jo nyt käytettävissä dataa, jonka mukaan

28.4 kuukauden kohdalla 61 % potilaista oli saanut vastetta ja heistä 37.4% vähintään täydellisen hoitovasteen. Mediaani elossaoloaika on 24.6 kuukautta. Tulokset ovat hyvin lupaavia tässä erittäin huonoennusteisessa potilasjoukossa, verrattuna esimerkiksi LocoMMotion tutkimuksen tuloksiin (triplarefraktaarien elinaika 12.4 kuukautta ja pentarefraktaarien 7.6 kuukautta).

Aikaisempien myeloomatutkimusten perusteella tiedetään, että mittaamattomaksi käyvä jäännöstauti (MRD, minimal residual disease) korreloi pidentyneeseen elossaoloaikaan. Tässä tutkimuksessa (edellä mainitulla lääkkeen annostelulla)

21 % potilaista saavutti jäännöstautinegatiivisuuden jäännöstaudin raja-arvolla 10-5

Myeloomaryhmän näkemyksen mukaan tutkimuksesta jo kertynyt seuranta-data osoittaa, että elranatamabihoito pidentää potilaiden elinaikaa.

Myeloomaan ei vielä tällä hetkellä ole tarjolla pysyvästi parantavaa hoitoa. Tähän mahdollisen poikkeuksen tekee allogeeninen kantasolusiirto, joka voi parantaa taudin, mutta joka on soveltuva hoitovaihtoehto vain äärimmäisen harvoille myeloomapotilaille (huomioiden ikä, muut sairaudet, hoidon toksisuus ja se tosiasia, että tauti usein uusii myös siirron jälkeen). Hoitojen kehityksen

11.11.2024

myötä myeloomapotilaiden ennuste on kuitenkin merkittävästi parantunut ja uusien tarjolla olevien lääkkeiden oikea-aikaisen ja oikein ketjutetun käytön myötä ennuste tulee edelleen parantumaan. Merkittävä osa myös muiden syöpien nykyhoitoa ei ole parantavaa, mutta hoidon turvin potilas voi elää pitkään lähes normaalia elämää.

Suomalaisten potilaiden valikoituminen uusien hoitojen piiriin tulee olla tasavertaista ja pohjautua sovittuihin kriteereihin. Tämä vaatii aktiivista keskustelua asiantuntijoiden kesken.

Jokaisen myeloomapotilaan hoidon kaari on yksilöllisesti räätälöityä, erityisesti siinä vaiheessa, kun tauti alkaa käydä vastustuskykyiseksi annetuille lääkkeille. Kaikki potilaat eivät sovellu kaikkiin hoitoihin ja monen potilaan kohdalla ei koskaan edetä myöhempiin hoitolinjoihin. Samaan aikaan joidenkin potilaiden kohdalla tarvitaan ehdottomasti käyttöön viimeisimmät uudet lääkkeet. Myelooma hoitavien lääkäreiden asiantuntijuutta ja harkintaa tarvitaan siinä, että uudet lääkkeet saadaan käyttöön oikeille potilaille oikeaan aikaan.

Johtopäätökset

Myeloomaryhmän mielestä elranatabin tulee kuulua suomalaiseen julkiseen palveluvalikoimaan niille soveltuville myeloomapotilaille, joiden tauti on muuttunut refraktaariksi immunomodulaattoreille, proteasomin estäjille ja CD38 - vasta-aineille.

Norjassa on bispesifinen vasta-aine teklistamabi saanut käyttöön ottoluvan edellytyksellä, että lääkkeestä käytetään harvempaa annostelua (kerran kuukaudessa). Lisäksi Norjassa käytön ehtona on RWE tyyppinen raportointi hoitotuloksista. Myeloomaryhmä pohtii, voisiko samantyyppistä mallia toteuttaa Suomessa.

. Yhteenveto suosituksesta

Potilaiden kannalta on olennaista se, että on saatavilla lääkkeitä, joilla on uusia toimintamekanismeja estää myelooman etenemistä. On myös tärkeää, että saatavilla on useita erilaisia hoitovaihtoehtoja, sillä kaikki lääkehoidot eivät haittavaikutustensa tai sairauden alatyypin vuoksi tehoa kaikille potilaille. Potilailta, jotka ovat jo läpikäyneet useita hoitolinjoja, puuttuvat hoitovaihtoehdot.

Elranatamabi on uusi ja innovatiivinen myeloomalääke. Sen etuna on lääkkeen välitön saatavuus potilaalle ns. off the shelf -lääkkeenä. Palko on jo antanut myönteisen suosituksen siltakabtageeniautoleuseelin (Carvykti) käytöstä kaksi vuotta sitten, mutta valmiste ei ole toistaiseksi kaupan Suomessa tai edelleenkään saatavilla. CAR-T-hoidoissa potilaalle ei kyetä antamaan hoitoa välittömästi, koska potilaan T-solut joudutaan lähettämään uudelleenohjelmoitaviksi kimeeristä antigeenireseptoria (CAR) koodaavalla transgeenillä, joka tunnistaa ja eliminoo BCMA:ta ilmentävät solut. Usein uusiutunutta ja hoitoon reagoimatonta multippelia myeloomaa sairastavilla ei ole aikaa sairauden etenemisen vuoksi odottaa CAR-T-soluhoidon tuotantoprosessia.

11.11.2024

Elranatamabin antotapa ihonalaisena pistoksena sopii useimmille potilaille ja myeloomapotilaat ovat tottuneet tähän lääkkeenantomenetelmään. Etenemisvapaalla (ja mahdollisesti oireettomalla) ajalla on erittäin suuri merkitys parantumatonta tautia sairastavalle potilaalle ja hänen läheisilleen.

Myeloomalle tyypillinen sairauden uusiutuminen tai sairauden uusiutumisen pelko on potilaalle henkisesti raskasta. Tätä pelkoa ja stressiä helpottaa se, että mahdollisia hoitovaihtoehtoja on myös sairauden myöhäisemmissä vaiheissa. Vaikeahoitoisissa tapauksissa uusi lääke tuo potilaalle toivoa. Myelooman hoitoja kehitetään jatkuvasti ja uusi lääke voi auttaa potilasta selviämään parantavan tai sairauden kulkua ratkaisevasti hidastavan hoidon markkinoille tuloon saakka.

Suomessa ollaan Nordcanin mukaan myelooman hoidossa jäljessä hoitotuloksissa, erityisesti miehissä (Lääkärilehti: <https://www.laakarilehti.fi/tieteessa/alkuperaistutkimukset/syopien-elossaoloennusteiden-kehitys-suomessa-ei-ole-pysynyt-muiden-pohjoismaiden-vauhdissa/>).

Suosituksessa hoitojen haittavaikutuksille on asetettu suurta painoarvoa. Sekä sytokiinioireyhtymää että neurotoksisuutta osataan hoitaa nykyään todella hyvin, eivätkä ne ole hoidollisia esteitä. Potilaat ovat keskustelleet asiasta myös erikoissairaanhoidon ammattilaisten kanssa.

Palkon suosituksessa painotetaan elranatamabin näytön riittämättömyyttä hoidon kliinisen merkittävyyden arvioimiseksi. Vaihtoehtona voisi olla ehdollinen käyttöönotto laajemman näytön ja tiedon keräämiseksi.

Olemme kuulleet, että myös myeloomalääkärit ovat ottamassa kantaa suosituksiin. Olemme huolestuneita tilanteesta, jos Suomessa jäädään ilman näitä elintärkeitä hoitoja.

Myelooma on sairaus, jolle uusiutuminen on tyypillistä. On erittäin tärkeää, että sairauden uusiutuessa potilaalle on tarjolla hoitovaihtoehtoja, joilla elämänlaatua voidaan parantaa ja elinaikaa lisätä. Elranatamabi-hoito on monoterapia, joten potilaan ei tarvitse ottaa muita myeloomalääkkeitä samanaikaisesti.

Pidämme äärimmäisen tärkeänä syöpään sairastuneiden mahdollisuutta saada omaan sairauteensa mahdollisimman hyvää, elämänlaatua edistävää hoitoa. Kohdennetut hoitomuodot tuovat toivoa myös sellaisille potilaille, joille on vain rajallisesti tai ei lainkaan sopivia hoitovaihtoehtoja ja joiden elinajan ennuste on huono. Potilaat, joiden ennuste on ilman hoitoa huono, eivät voi odottaa.

On olennaista huomioida potilaiden tasa-arvo ja tunnistaa myös pienten potilasryhmien tarve saada sopivaa lääkehoitoa. Tätä tukee myös lääkevalmisteen hyvä kustannushyöty, kun potilaita ei ole paljon. Hoitovaihtoehtojen merkitys on erittäin suuri, vaikka potilasmäärä on suhteellisen pieni (ns. unmet medical need). Potilasnäkökulmasta katsottuna elossa pysyminen hyväkuntoisena ja toimintakykyisenä on arvokasta, myös elämänlaadun näkökulmasta. Pienikin parannus elämänlaatuun on merkityksellinen ja toivoa antava.

Suomen Syöpäpotilaat ry ja järjestön myeloomaverkosto pitävät erittäin tärkeänä, että elranatamabi saa Suomessa myönteisen päätöksen kansalliseen palveluvalikoimaan kuulumisesta.

11.11.2024

Toivomme lisäksi, että potilasnäkökulma huomioidaan Palkon suositusprosesseissa jo varhaisemmassa vaiheessa.

Kommenttien perusteella tehdyt muutokset

Palkon lääkejaosto keskusteli saaduista kommenteista, mutta ei ehdottanut muutoksia suosituksen sisältään eikä suosituslauseeseen.