



SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION OM BREXUKABTAGEN-AUTOLEUCEL VID BEHANDLING AV RECIVIDERANDE ELLER RE- FRAKTÄR AKUT LYMFOBLASTISK LEUKEMI HOS VUXNA

Rekommendationen godkändes vid tjänsteutbudsrådets möte den 7 november 2024.

Behandlingen med Tecartus (brexukabtagen-autoleucel) ingår i det nationella tjänsteutbudet av behandlingar av recividerande eller refraktör B-cellsprekursor akut lymfoblastisk leukemi (ALL) hos 26 år fyllda patienter med god kondition (ECOG-funktionsförmåga 0–1). Behandlingen är indikerad för patienter som inte tidigare har fått CAR-T-behandling.

Enligt tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården uppnådde en betydande del av patienterna långvarig fullständig remission med Tecartus-behandlingen. Behandlingens effekt har visats hos patienter i god kondition och forskningsbevisen är förenade med betydande osäkerhet. Tjänsteutbudsrådet förutsätter att innehavaren av försäljningstillståndet och köparen avtalar om ett pris som är betydligt lägre än det offentliga partiförsäljningspriset. Rådet förutsätter också att man som en del av prispförhandlingarna avtalar om insamlingen och rapporteringen av uppföljningsdata.

Tecartus är avsett för behandlingen av recividerande eller refraktör B-cellsprekursor akut lymfoblastisk leukemi (ALL) hos 26 år fyllda. Effekten och säkerheten i fråga om Tecartus har undersökts genom en enarmad ZUMA-3-studie i fas 1/2 av 18 år fyllda patienter med god kondition. Resultaten har samlats in under en period på fyra år.

I ZUMA-3-studien uppnådde nästan tre fjärdedelar av de 26 år fyllda patienterna fullständig remission enligt den uppdaterade analysen av den primära resultatvariabeln. Av dem uppnådde största delen (ca 60%) fullständig remission (CR) och en mindre del (13%) fullständig remission med ofullständig hematologisk återhämtning (CRi). Den uppnådda remissionens medianvaraktighet i denna patientgrupp var över 1,5 år (20,0 månader), den progressionsfria överlevnadstiden nästa 1 år (11,6 månader) och den totala överlevnadstidens median över 2 år (26,0 månader). Resultaten i fråga om de 18 år fyllda patienterna (n = 78) var liknande när det gäller alla de ovannämnda resultatvariablerna.

I intent-to-treatpopulationen i fas 1 och 2 screenades i ZUMA-3-studien sammanlagt 99 patienter av de 18 år fyllda deltagarna. Vita blodkroppar filtrerades ur blodet för ungefär en femtedel av patienterna (n = 21), men dessa patienter fick inte Tecartus. Medianen för total överlevnad (OS) var nästan 4 år (47,0 månader) för de patienter som uppnådde fullständig remission (CR eller CRi) med Tecartus-behandlingen. För de patienter som inte uppnådde remission var

prognosen däremot dålig (medianen för total överlevnad 2,4 månader). Enligt tjänsteutbudsrådet är resultaten av behandlingen med Tecartus kliniskt betydelsefulla när det gäller den undersökta patientgruppen.

I ZUMA-3-studiens primära analys, där medianen för den potentiella uppföljningstiden var 16,4 månader, rapporterades det någon negativ händelse för nästan alla patienter i intent-to-treat-populationen 18 år fyllda fas 2 (n = 55). Enligt EMA:s bedömningsrapport är de negativa händelserna liknande som de som rapporteras i samband med de övriga CAR-T-behandlingarna. Under undersökningen observerades inte heller några nya betydande negativa effekter. Under uppföljningsperioden på 4 år hade 43 patienter dött i intent-to-treatpopulationen 18 år fyllda fas 1 och 2 (n = 78). För 26 patienter var orsaken sjukdomsprogressionen, och för 17 patienter någon annan orsak. De allvarliga skadeverkningar och betydande risker som ansetts vara förknippade med Tecartus-behandlingen skiljer sig enligt tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården inte märkbart från de som rapporterats vid de övriga CAR-T-behandlingarna.

Eftersom ZUMA-3-studien var enarmad har uppgifterna om jämförelsebehandlingarna erhållits genom indirekta jämförelser. Tecartus-behandlingen har jämförts indirekt med historiska kohorter och med pivotala undersökningar av blinatumomab och inotuzumab-ozogamicin. Vid de indirekta jämförelserna har Tecartus i de flesta fallen visat sig ha en bättre effekt än blinatumomab, inotuzumab-ozogamicin och kemoterapin. De indirekta jämförelserna är dock förenade med stor osäkerhet bland annat på grund av metodbegränsningarna och tillgängligheten till material.

Läkemedelskostnaden för Tecartus per patient är enligt det offentliga listpriset 360 000 euro. Tecartus-behandlingens patientkostnader är 190 000 – 300 000 euro högre än jämförelsebehandlingarna, beroende på vilken behandling man jämför med och om det utförts en stamcells-transplantation. Enligt Fimeas bedömning skulle behandlingen lämpa sig för 0–5 patienter per år i Finland.

Vid granskningen av de andra länderna visade den hälsoekonomiska analysen att Tecartus-behandlingen var dyrare men samtidigt gav flera hälsofördelar jämfört med jämförelsebehandlingarna. Många undersökningar använde cytostatikabehandlingen som jämförelsebehandling, och resultaten av dem kan inte tillämpas på Finlands förhållanden. De osäkerhetsmoment som nämndes i de övriga ländernas rapporter gällde bland annat behandlingseffektens varaktighet och de indirekta jämförelserna med övriga jämförelsebehandlingar.

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 suosituks](#).

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](#).