



7.11.2024

STM023:00/2023

VN/14986/2024

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA BREKSUKAPTAGEENIAUTOLEUSEELI AIKUISTEN UUSIUTUNEEN TAI HOITOON REAGOIMATTOMAN AKUUTIN LYMFOPLASTISEN LEUKEMIAN HOIDOSSA

Suositus hyväksytty Palkon kokouksessa 7.11.2024

Tecartus -hoito (breksukaptageeniautoleuseeli) kuuluu kansalliseen palveluvalikoimaan hyväkuntoisten (ECOG-toimintakykyluokka 0-1) vähintään 26-vuotiaiden potilaiden uusiutuneen tai hoitoon reagoitumattoman prekursori-B-solujen akuutin lymfoblastisen leukemian (ALL) hoidossa. Hoitoa voidaan antaa potilaille, jotka eivät ole saaneet aiemmin CAR-T hoitoa.

Palkon näkemyksen mukaan merkittävä osa potilaista sai Tecartus -hoidolle pitkäkestoisen täydellisen remission. Hoidon teho on osoitettu vain hyväkuntoisilla potilailla ja tutkimusnäyttöön liittyy merkittävää epävarmuutta. Palko edellyttää, että myyntiluvan haltija ja ostaja sopivat merkittävästi julkista tukkuhintaa alemmasta hinnasta. Lisäksi Palko edellyttää, että osana hintaneuvottelua sovitaan hoidon seurantatiedon keruusta ja raportoinnista.

Tecartus on tarkoitettu vähintään 26-vuotiaiden uusiutuneen tai hoitoon reagoimattoman prekursori-B-solujen akuutin lymfoblastisen leukemian (ALL) hoitoon. Tecartuksen tehoa ja turvallisuutta on tutkittu faasin 1/2 yksihaaraisessa tutkimuksessa ZUMA-3, johon otettiin mukaan hyväkuntoisia vähintään 18-vuotiaita potilaita. Tuloksia on saatavilla neljän vuoden ajalta.

ZUMA-3-tutkimuksessa ensisijaisen lopputulosmuuttujan osalta päivitettyssä analyysissä täydellisen remission saavutti lähes kolme neljäsosaa vähintään 26-vuotiaista potilasta. Näistä suurin osa (n. 60 %) saavutti täydellisen remission (CR) ja lisäksi osa (13 %) täydellisen remission epätäydellisellä hematologisella palautumisella (CRi). Saavutetun remission mediaanikesto tällä potilasryhmällä oli yli 1,5 vuotta (20,0 kuukautta), uusiutumisvapaa elossaoloaika lähes vuoden (11,6 kuukautta) ja kokonaiselossaoloajan mediaani yli 2 vuotta (26,0 kuukautta). Vähintään 18-vuotiaiden potilaiden (n = 78) tulokset olivat samankaltaiset kaikkien edellä mainittujen tuloksmuuttujien osalta.

Faasien 1 ja 2 hoitoaiepopulaatioon seulottiin ZUMA-3-tutkimuksessa vähintään 18-vuotiaita osallistujia yhteensä 99 potilasta. Noin viidesosalla potilaista (n = 21) poistettiin verestä valkosolut, mutta he eivät saaneet Tecartusta. Tecartus-hoidolla täydellisen remission (CR tai CRi) saaneilla potilailla OS mediaani oli lähes 4 vuotta (47,0 kuukautta). Sen sijaan niiden potilaiden, jotka eivät saavuttaneet remissiota, ennuste oli huono (OS mediaani 2,4 kuukautta). Palkon näkemyksen mukaan Tecartus -hoidolla saavutetut tulokset ovat tutkitussa potilasryhmässä kliinisesti merkityksellisiä.



ZUMA-3-tutkimuksen primäärianalyysissä, jolloin potentiaalisen seuranta-ajan mediaani oli 16,4 kuukautta, vähintään 18-vuotiaiden faasin 2 hoitoaiepopulaatiossa (n = 55) lähes kaikilla potilailla havaittiin jokin haittatapahtuma. EMA:n arviointiraportin mukaan havaitut haittatapahtumat ovat samankaltaisia muiden CAR-T-hoitojen kanssa, eikä tutkimuksesta ilmennyt uusia merkittäviä haittoja. Neljän vuoden seurannassa vähintään 18-vuotiaiden faasin 1 ja 2 hoitoaiepopulaatiossa (n = 78) oli kuollut 43 potilasta. Potilaista 26:lla syynä oli taudin eteneminen ja 17:llä muu syy. Palkon näkemyksen mukaan Tecartus -hoitoon on kuvattu liittyvän vakavia haittoja ja merkittäviä riskejä, jotka eivät kuitenkaan eroa merkittävästi muista CAR-T hoitoista.

ZUMA-3-tutkimus oli yksihaarainen, joten tietoa vertailuhoidoista on saatu epäsuorista vertailuista. Tecartus-hoitoa on verrattu epäsuorasti historiallisiin kohortteihin sekä blinatumomabin ja inotutsumabi-otsogamisiin pivotaalitutkimuksiin. Epäsuorissa vertailuissa Tecartus on pääsääntöisesti näyttäytynyt teholtaan parempana kuin blinatumomabi, inotutsumabi-otsogamisiin tai kemoterapiahoito. Epäsuoriin vertailuihin kuitenkin liittyy paljon epävarmuutta, johtuen esimerkiksi menetelmien rajoituksista ja saatavilla olevasta aineistosta.

Tecartuksen potilaskohtaiset lääkekustannukset ovat julkisella listahinnalla 360 000 €. Tecartus-hoidon potilaskohtaiset kustannukset ovat 190 000 – 300 000 euroa kalliimmat kuin vertailuhoidoilla, riippuen vertailuhoidosta ja mahdollisesta kantasolusiirrosta. Fimean arvion mukaan Suomessa hoitoon soveltuisi vuosittain 0 – 5 potilasta.

Muiden maiden tarkastelluissa terveystaloudellisissa analyyseissä Tecartus-hoito oli kalliimpaa, mutta tuotti enemmän terveyshyötyjä vertailuhoitoihin verrattuna. Monessa mallinnuksessa käytettiin vertailuhoitona solunsalpaajahaittoja, eivätkä niiden tulokset ole sovellettavissa Suomen tilanteeseen. Epävarmuustekijöinä eri maiden raporteissa mainittiin muun muassa hoidon tehon kesto ja epäsuorat vertailut muihin vertailuhoitoihin.

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