



SAMMANFATTNING

19.12.2024

1(2)

STM023:00/2023
VN/14980/2024**SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION OM
TABELKLEUCEL VID BEHANDLING AV RECIDIVERANDE ELLER REFRAKTÄRT
EPSTEIN-BARR-VIRUS POSITIV LYMFOPROLIFERATIV SJKDOM (EBV+PTLD)**

Rekommendationen godkändes vid tjänsteutbudsrådets möte den 19 december 2024

Tabelekleucel ingår inte i det nationella tjänsteutbudet för behandling av recidiverande eller refraktärt Epstein-Barr-virus positiv post-transplantation lymfoproliferativ sjukdom (EBV-PTLD) som har fått minst en tidigare behandling. Enligt tjänsteutbudsrådet är bevisen för att behandlingen är effektiv otillräckliga och innehåller betydande osäkerhetsfaktorer. Enligt tjänsteutbudsrådet är behandlingen inte kostnadseffektiv.

Forskningsbevisen för tabelekleucels effekt och säkerhet baseras i huvudsak på den enarmade fas III-studien ALLELE. I studien deltog sammanlagt 43 patienter, som tidigare hade fått allogen celltransplantation (HCT) eller solid organtransplantation (SOT). På grund av det låga antalet patienter är resultaten av analyserna av undergrupperna närmast beskrivande.

I fråga om ALLELE-studiens primära effektmått, den objektiva svarsfrekvensen (ORR), var resultaten för HCT- och SOT-kohorterna likartade; ungefär hälften av patienterna uppnådde objektiv svarsfrekvens. I HCT-kohorten uppnåddes fullständig respons hos 43 % av patienterna och i SOT-kohorten hos under 30 % av patienterna. Andelen tolv månaders överlevnad (OS) var i HCT-kohorten 70 % och i SOT-kohorten 56 %. Estimerad OS-median kunde inte utvärderas för HCT-kohorten, men för SOT-kohorten var den 16,4 månader och för hela studiepopulationen 18,4 månader. Enligt tjänsteutbudsrådets uppfattning svarade en betydande andel av patienterna på behandlingen och patienternas sannolika överlevnad verkar högre än för patienter i den retrospektivt insamlade kontrollarmen. Den korta uppföljningsperioden medför en osäkerhet vid bedömningen av resultatens betydelse.

Vid bedömningen av säkerheten ingick förutom ALLELE-studien också patienter från andra studier, så att en del av dem eventuellt hade också andra sjukdomar relaterade till Epstein-Barr-viruset. Under behandlingen inträffade negativa händelser hos nästa alla patienter i den utökade patientpopulationen (96,1 %) och negativa händelser förknippade med behandlingen uppkom hos cirka 40 % av patienterna. De viktigaste identifierade riskerna vid tabelekleucelbehandling är förknippade med tumörutbrottsreaktion och transplanterat-mot-värdsjukdom, vilka förekom i några fall i den utökade patientpopulationen.

Läkemedelskostnaden för en behandlingscykel för en patient skulle enligt europeiska listpriser vara 225 000 euro. Om behandlingen skulle pågå 2–8 cykler, skulle behandlingens läkemedels- och administreringskostnader i Finland vara cirka 451 000–1 805 000 euro. I en HTA-utvärderingsrapport publicerad av de franska myndigheterna användes som genomsnittlig behandling i modelleringen 2,52 cykler, enligt vilket de patientspecifika läkemedels- och administrationskostnaderna i Finland skulle vara cirka 569 000 €. På grund av osäkerhet kring behandlingens varaktighet omfattas de patientspecifika totalkostnaderna och därigenom också bedömningen av budgetkonsekvensen av betydande osäkerhet.

Enligt tjänsteutbudsrådet är det fråga om en mycket dyr behandling med betydande osäkerhet, vars kliniska bevis är förknippade med betydande osäkerhet och som inte är kostnadseffektiv.

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 suosituksen](#).

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](#).