

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA TABELEKLEUSEELI UUSIUTUNEEN TAI HOITORESISTENTIN TRANSPLANTAATION JÄLKEISEN EPSTEIN-BARRIN VIRUSPOSITIIVISEN LYMFOPROLIFERATIIVISEN SAIRAUDEN (EBV+ PTLD) HOIDOSSA

Suositus on hyväksytty Palkon kokouksessa 19.12.2024

Tabelekleuseeli ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan uusiutuneen tai hoitoresistentin transplantaation jälkeisen Epstein–Barrin virus -positiivisen lymfoproliferatiivisen sairauden (EBV+ PTLD) hoidossa vähintään yhden aiemman hoitolinjan jälkeen. Palkon näkemyksen mukaan näyttö hoidon vaikuttavuudesta on riittämätön ja siihen sisältyy merkittävää epävarmuutta. Hoito ei ole Palkon näkemyksen mukaan kustannusvaikuttavaa.

Tabelekleuseelin tehon ja turvallisuuden tutkimusnäyttö perustuu pääosin faasin III yksihaaraiseen ALLELE-tutkimukseen. Tutkimukseen osallistui yhteensä 43 potilasta, jotka olivat saaneet aiemmin allogeenisen kantasolusiirron (HCT) tai kiinteän elimen siirron (SOT). Pienten potilasmäärien takia alaryhmäanalyysien tulokset ovat lähinnä kuvailevia.

ALLELE-tutkimuksen päätulosmuuttujan, eli objektiivisen kokonaisvasteen (ORR) suhteen tulokset olivat HCT- ja SOT-kohorttien osalta hyvin samankaltaiset; noin puolet potilaista saavutti objektiivisen kokonaisvasteen. HCT-kohortissa täydellisen vasteen saavutti 43 % potilaista ja SOT-kohortissa alle 30 % potilaista. Kahdentoista kuukauden elossaolo-osuus (OS) oli HCT-kohortissa 70 % ja SOT-kohortissa 56 %. Estimoitua OS-mediaania ei ollut HCT-kohortin osalta arvioitavissa, mutta SOT-kohortin osalta se oli 16,4 kuukautta ja koko tutkimuspopulaation osalta 18,4 kuukautta. Palkon näkemyksen mukaan merkittävä osa potilaista sai hoidolle vastetta ja potilaiden elossaolon todennäköisyys vaikuttaa korkeammalta kuin retrospektiivisesti kerätyn kontrollihaaran potilailla. Lyhyt seuranta-aika tuo epävarmuutta tulosten merkityksen arviointiin.

Turvallisuuden arvioinnissa oli ALLELE-tutkimuksen lisäksi mukana potilaita myös muista tutkimuksista, niin että osa saattoi sairastaa myös muita Epstein–Barrin virukseen liittyviä sairauksia. Hoidon aikana ilmeni haittatapahtumia lähes kaikilla laajennetun potilaspopulaation potilailla (96,1 %) ja hoitoon liittyviä haittatapahtumia ilmeni noin 40 %:lla potilaista. Tabelekleuseeli-hoidon tärkeimmät tunnistetut riskit liittyvät tumor flare -reaktioon ja käänteishyljintään, joita esiintyi muutamia laajennetulla potilaspopulaatiolla.

Potilaan yhden hoitosyklin lääkekustannus olisi eurooppalaisin listahinnoin 225 000 euroa. Mikäli hoito kestäisi 2–8 sykliä, olisivat hoidon lääke- ja annostelukustannukset Suomessa noin 451 000–1 805 000 euroa. Ranskan viranomaisten julkaisemassa HTA-arviointiraportissa mallinnuksen keskimääräisenä hoidon kestonä käytettiin 2,52 sykliä, jonka pohjalta laskettuna potilaskohtaiset lääke- ja annostelukustannukset Suomessa olisivat noin 569 000 €. Hoidon keston epävarmuuden takia potilaskohtaisiin kokonaiskustannuksiin ja näin ollen myös budjettivaikutuksen arviointiin liittyy merkittävää epävarmuutta.

Palkon näkemyksen mukaan kyseessä on erittäin kallis hoito, jonka kliiniseen näyttöön liittyy merkittävää epävarmuutta ja joka ei ole kustannusvaikuttavaa.

Yleinen tietolaatikko tiivistelmissä

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](#).