

## Yhteenveto tabelekleuseeli suositusluonnoksen kommenteista

Palkon lääkejaosto hyväksyi kokouksessaan 16.9.2024 tabelekleuseelia koskevan suositusluonnoksen. Tämän jälkeen luonnos oli julkisesti kommentoitavana otakantaa.fi-sivustolla 5.11. – 3.12.2024.

Kommentteja antoi 2 tahoja, jotka ilmoittivat edustavansa seuraavia taustatahoja

- HUS Syöpäkeskus Hematologian linja
- Suomen Lymfoomaryhmä

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

1 0/2

2 2/2

3 0/2

4 0/2

5 0/2

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

### **Terveysongelma**

Suomessa tehdään aikuispotilaille n 120 allogeenista kantasolujensiirtoa vuosittain, joista arviolta 0–1 potilaalla todetaan relapoitunut tai refraktaari (R/R) PTLD, joka vaatii ensimmäisen hoitolinjan jälkeen toisen hoitolinjan. Remissioon hoidetun HCT-PTLD:n myöhäinen uusiutuminen on epätodennäköistä. 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.

### **Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan**

Uusiutuneen tai refraktaariksi osoittautuneen PTLD:n hoito on erittäin haasteellista, etenkin, mikäli ensi linjan hoidossa on käytettynä R-CHOP kemoimmunoterapia. Kumulatiivisen antrasykliini-

20.12.2024

annoksen ollessa täynnä tai refraktaarin taudin ollessa kyseessä uusintahoito ko kombinaatiolla ei ole mahdollista. Uusiutuneen tai refraktaarin taudin hoidon suhteen kirjallisuudessa ei anneta selvää suositusta, vaan tulokset pohjaavat pääsääntöisesti tapausselostuksiin, yksilöllisiin hoitoratkaisuihin tai pieniin potilassarjoihin lukuunottamatta fIII pääosin yksihaaraista ALLELE-tutkimusta.

R/R HCT-PTLD:n hoitoon ei nykyisin ole realistisia hoitovaihtoehtoja ja tauti johtaa yleensä potilaan menehtymiseen. Myös SOT-PTLD potilailla toisen linjan hoitovaihtoehdot ovat hyvin rajatut ja käytännössä valtaosa R/R-potilaista linjautuu suoraan palliaatioon tehokkaan ja siedoltaan riittämättömän hoitovaihtoehdon puuttuessa.

### **Vaikuttavuus ja turvallisuus**

Tabelecleucel-hoidon teho ja siedettävyyys on kemoterapiaan verrattuna huomattavasti parempi. Tabelecleucel-hoidolla 50 % HCT-PTLD potilaista saavuttaa pitkäkestoisen remission, mikä useimpien kohdalla todennäköisesti tarkoittaa pysyvää parantumista.

### **Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset**

Tabelecleucel hoitokustannuksia on verrattu R-CHOP-hoitoon, joka on jo annettu tai jota hoidon toksisuuden vuoksi ei voida käyttää.

### **Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat**

R/R HCT-PTLD on erittäin harvinainen tila, joka nykytilanteessa yleensä johtaa potilaan menehtymiseen. Käytettävissä olevan tutkimustiedon valossa Tabelecleucel hoito on kemoterapiaan nähden selvästi tehokkaampi ja turvallisempi, ja vasteensaaneilla potilailla on realistinen mahdollisuus pysyvään parantumiseen (tämän osalta pitkäaikaisseuranta menossa). Tätä taustaa vasten, hoidon epääminen perustuu ainoastaan kustannussyihin. Tabelecleucel hoidon tarve on kuitenkin rajallinen, oletettavasti vain yksittäisille SOT-PTLD potilaalle vuositasolla koko Suomessa ja HCT-PTLD potilaille muutaman vuoden välein, mikä rajoittaa hoidosta johtuvia kustannuksia. Polikliinisesti toteutettavaan hoitoon ei myöskään liity mitään liitännäiskustannuksia.

### **Johtopäätökset**

Tabelecleucel tulisi kuulua palveluvalikkoon niillä yksittäisillä potilailla, joilla HCT-PTLD tai SOT-PTLD osoittautuu refraktaariksi ensilinjan hoidolle tai uusiutuu pian hoidon jälkeen, ja joilla R-CHOP hoitoa ei sovellu haittavaikutusten tai ensilinjan käytön vuoksi. Näille potilailla ei tällä hetkellä ole soveltuvaa hoitoa tarjolla ja alustavien tutkimustulosten valossa tacelecleucel hoidolla merkittävä osa potilaista voisi saavuttaa pitkäkestoisen hoitovasteen, joka HCT-PTLD:ssa todennäköisesti merkitsee pysyvää parantumista.



20.12.2024

## Kommenttien perusteella tehdyt muutokset

Palkon lääkejaosto keskusteli saaduista kommentteista, mutta ei ehdottanut muutoksia suosituksen sisältöön eikä suosituslauseeseen.