

5.2.2026

STM023:00/2023
VN/8850/2025

SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION OM TOFERS- SEN VID BEHANDLING AV AMYTROFISK LATERALSKLEROS (ALS) MED PÅVISAD MU- TATION I GENEN FÖR SUPEROXIDDISMUTAS 1 (SOD1)

Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården godkände rekommendationen vid sitt möte den 5 februari 2026

Tofersen ingår inte i det nationella tjänsteutbudet vid behandling av amyotrofisk lateralskleros (ALS) med påvisad mutation i genen för superoxiddismutas 1 (SOD1). Enligt tjänsteutbudsrådet kan tofersen-läkemedlets terapeutiska värde jämfört med nuvarande behandling inte påvisas. I det material som tillhandahållits av innehavaren av försäljningstillståndet finns inte jämförelsedata om Finlands läkemedelsbehandling enligt gällande vårdpraxis. De patienter som deltog i undersökningen representerar inte de finländska ALS-patienterna. Tofersen är ett mycket dyrt läkemedel. Tofersenbehandlingen är inte kostnadseffektiv i Finland.

Läkemedelspreparatet Qalsody som innehåller tofersen beviljades ett villkorligt försäljningstillstånd av Europeiska kommissionen år 2024 för behandling av vuxna med amyotrofisk lateralskleros (ALS) med påvisad mutation i genen för superoxiddismutas 1 (SOD1). Evidensen för tofersen kliniska effekt och säkerhet vid den indikation som rekommendationen gäller baseras i huvudsak på en randomiserad, dubbelblind och placebokontrollerad fas 3-multicenterstudie och en därpå följande fortsatt undersökning.

I den randomiserade kontrollerade studien i fas 3 fanns det inga statistiskt signifikanta skillnader i den fysiska prestationsförmågan, andningsförmågan eller muskelstyrkan hos de patienter som fick tofersen jämfört med de som fick placebo. Mätt från cerebrospinalvätskan minskade biomarkörerna, vilket stöder den antagna biologiska effekten. Den placebokontrollerade uppföljningstiden var för kort, och därför kan den kliniska effekten av tofersen inte bedömas tillförlitligt på lång sikt vad gäller till exempel den aktiva livstiden, prognosen för överlevnad eller tiden före behovet av andningsstöd. Det gjordes ingen jämförelse med den behandling som

vanligen används enligt gällande praxis, och därför kan effekten eller resultaten av tofersen eller kombinationsbehandlingen tofersen-riluzol jämfört med riluzol-behandlingen inte påvisas. Hos nästan alla patienter (99,3 %) som behandlades med tofersen förekom någon incident. Allvarliga incidenter konstaterades hos 44,2 % och behandlingsrelaterade incidenter hos 66,7 % av patienterna. Tofersen-behandlingen förlänger patientens tid på sjukhus. ALS-patienterna i Finland har i vanliga fall den sjukdomsformen som framskrider mycket långsamt, och därför är skadorna av tofersen-behandlingen större än den eventuella nyttan av behandlingen. Eftersom det inte gjordes någon analys av genetisk variation vid försäljningstillståndsstudien har man inga uppgifter om huruvida någon viss genvariation svarar bättre på behandlingen. De SOD1-genvarianter som användes i studien representerar inte de SOD1-genvarianter som förekommer i Finland. Resultaten av studien kan inte direkt tillämpas på patienterna i Finland. Tofersen kan inte ersätta den vanliga behandlingen med riluzol. Riluzol-behandlingens kostnader är måttliga (2 542 € / patient / år) jämfört med tofersen (första året 300 125 euro /patient / år, och följande år 278 946 euro /patient / år) enligt officiella listpriser. Tofersen-behandlingen är inte kostnadseffektiv i någon av de modellerade scenarierna i Finland (ICER 1,3 miljoner € / QALY). Kostnader uppkommer även av de genetiska undersökningarna i anknytning till tofersen-behandlingen, resorna till och från sjukhuset, uppföljningen av behandlingens effekt och behandlingen av biverkningarna. Om tofersen-behandlingen blir praxis ökar även personalbehovet en aning.

Allmän inforuta i sammanfattningarna

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 suositukset](#).

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](#).