

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA TOFERSEENI SUPEROKSIDIDISMUTAASI 1 (SOD1) -GEENIN MUTAATIOON LIITTYVÄN AMYOTROFISEN LATERAALISKLEROOSIN (ALS-TAUDIN) HOIDOSSA

Suositus on hyväksytty Palkon kokouksessa 5.2.2026

Toferseeni ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan superoksididismutaasi 1 (SOD1) -geenin mutaatioon liittyvän amyotrofisen lateraaliskleroosin (ALS-taudin) hoidossa. Palkon näkemyksen mukaan toferseenin hoidollinen arvo verrattuna nykyhoitoon jää osoittamatta. Myyntiluvan haltijan toimittamassa aineistossa ei ole vertailutietoa suomalaisen nykyisen hoitokäytännön mukaiseen lääkehoitoon. Tutkimukseen osallistuneet potilaat eivät edusta suomalaisia ALS-potilaita. Toferseeni on erittäin kallis lääke. Toferseenihoito ei ole kustannusvaikuttavaa Suomessa.

Euroopan komissio on myöntänyt toferseenia sisältävälle Qalsody-valmisteelle ehdollisen myyntiluvan aikuisille superoksididismutaasi 1 (SOD1) -geenin mutaatioon liittyvän amyotrofisen lateraaliskleroosin (ALS-taudin) hoitoon vuonna 2024. Toferseenin kliinisen tehon ja turvallisuuden tutkimusnäyttö suosituksen käyttöaiheessa perustuu pääosin faasin III satunnaisesti, kaksoissokkoutettuun ja lumelääkekontrolloituun monikeskustutkimukseen sekä sitä seuranneeseen avoimeen jatkotutkimukseen.

Faasin III RCT-tutkimuksessa toferseenia saaneiden potilaiden fyysisessä suorituskyvyssä, hengitysfunktiossa tai lihasvoimassa verrattuna lumelääkkeeseen ei ollut tilastollisesti merkittäviä eroja. Selkäydinnesteestä mitattuna biomarkkereissa oli vähenemää, mikä tukee oletettua biologista vaikutusta. Lumelääkekontrolloitu seuranta-aika jäi liian lyhyeksi, joten toferseenin kliinistä tehoa ei voida luotettavasti arvioida pitkällä aikavälillä esimerkiksi aktiiviseen elinajan, elinajan ennusteeseen tai aikaan ennen hengitystukihoidon tarvetta. Vertailua tavanomaiseen, nykykäytännön mukaiseen hoitoon ei tehty, joten toferseenin tai toferseeni-rilut-solihdistelmähoitoon teho tai vaikuttavuus verrattuna rilutsoliin jää osoittamatta.

Toferseenia saaneista potilaista lähes kaikilla (99,3 %) esiintyi haittatapahtuma. 44,2 %:lla esiintyi vakava haittatapahtuma ja 66,7 %:lla esiintyi hoitoon liittyvä haittatapahtuma. Toferseenihoidot lisäävät potilaan sidonnaisuutta sairaalaan. Suomalaiset ALS-potilaat tyypillisesti sairastavat hyvin hitaasti etenevää tautimuotoa, jolloin toferseenihoidon haitat ovat suuremmat kuin siitä saatavat mahdolliset hyödyt.

Myyntilupatutkimuksessa ei tehty geenivariaation mukaista analyysia, joten tutkimus ei anna tietoa siitä, onko vaste parempi jossakin tietyssä geenivariaatiossa. Tutkimukseen osallistuneiden SOD1-geenin variantit eivät edusta Suomessa esiintyviä SOD1-geenin variantteja. Tutkimuksen tulokset eivät ole suoraan siirrettävissä Suomen potilaisiin.

Toferseeni ei korvaa tavanomaista hoitoa rilutsolia. Tavanomainen hoito on kustannuksiltaan maltillinen (2 542 € / potilas / vuosi) verrattuna toferseeniin (ensimmäiseltä vuodelta 300 125 € / potilas / vuosi, seuraavilta vuosilta 278 946 € / potilas / vuosi) julkisilla listahinnoilla. Toferseeni ei ole kustannusvaikuttava missään mallinnetussa skenaariossa Suomessa (ICER 1,3 miljoonaa € / QALY). Kustannuksia kertyy myös toferseenihoitoon liittyvistä geenitutkimuksista, matkustamisesta sairaalaan ja takaisin, vaikutusten arvioinnista ja haittavaikutusten hoidosta. Toferseenin käyttöönotto lisää jonkin verran henkilökunnan tarvetta.

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.

Lisätietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea [Palkon kotisivuilta](#).