

SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION OM LUSPATERCEPT FÖR BEHANDLING AV ANEMI SOM ÄR BEROENDE AV TRANSFUSION AV RÖDA BLODKROPPAR I SAMBAND MED MYELODYSPLASTISKT SYNDROM

Godkänts vid tjänsteutbudsrådets möte den 24 mars 2021

Enligt tjänsteutbudsrådets rekommendation hör luspatercept inte till det nationella tjänsteutbudet för behandling av anemi som är beroende av transfusion av röda blodkroppar i samband med myelodysplastiskt syndrom (MDS). Behandling med luspatercept har liten effekt och kostnaderna för behandlingen är höga i förhållande till det terapeutiska värdet och den osäkra bevisningen. Luspatercept är ett nytt läkemedel för behandling av anemi vid MDS med mycket låg, låg och medelhög risk. Syftet med behandlingen är att minska behovet av transfusioner av röda blodkroppar vid manifest anemi och förbättra patienternas hälsomässiga livskvalitet. Luspatercept har försäljningstillstånd även för behandling av anemi som beror på beta-talassemi.

Forskningsbevisen grundar sig på den dubbelblinda fas III-studien MEDALIST, i vilken patienterna randomiserades för att få luspatercept (n=153) eller placebo (n=76). Luspatercept eller placebo administrerades under huden var tredje vecka. Behandlingen pågick fram till vecka 48 om patienten hade haft nytta av behandlingen under de första 24 veckorna. Luspatercept konstaterades ha liten effekt vid behandling av anemi i samband med MDS med högst medelhög risk. En dryg tredjedel (38 %) av de patienter som fick luspatercept uppnådde ett minst åtta veckors transfusionsoberoende av röda blodkroppar under de första 24 veckorna av behandlingen, medan motsvarande andel i placebogruppen var 13 procent. Behandlingen hade ingen effekt på den hälsomässiga livskvaliteten. I studien utreddes inte luspatercepts effekt på behovet av järnkellerande terapi, som behövs för att minska ansamlingen av järn i kroppen.

Om luspatercept införs i det nuvarande tjänsteutbudet orsakar det enligt försäljningstillståndsinnehavarens analys av kostnadseffektiviteten tilläggskostnader på cirka 130 000 euro per patient per år jämfört med nuvarande behandling. Uppskattningsvis 20–25 patienter lämpar sig för behandling med luspatercept.

Myelodysplastiskt syndrom (MDS) är en grupp elakartade blodsjukdomar, där produktionen av blodbildande celler i benmärgen är störd. Hos ungefär en tredjedel av patienterna avancerar MDS till akut myeloisk leukemi. De nya sjukdomsfallen uppgår årligen till cirka 2–3/100 000. År 2018 konstaterades 121 nya fall.

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 [färdiga rekommendationer](#).

Sammanfattningarna på [finska](#) 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](#).