

## SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION OM LUSPATERCEPT FÖR BEHANDLING AV ANEMI SOM ÄR BEROENDE AV TRANSFUSION AV RÖDA BLODKROPPAR HOS VUXNA MED BETA-TALASSEMI

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 hos vuxna med beta-talassemi. Behandling med luspatercept har liten effekt och kostnaderna i förhållande till effekten är oskäligen.

Luspatercept är avsett för behandling av anemi som är beroende av transfusion av röda blodkroppar hos vuxna patienter med beta-talassemi. Luspatercept administreras som en subkutan injektion var tredje vecka. Syftet med behandlingen är att minska behovet av transfusioner av röda blodkroppar och reducera ansamlingen av järn i kroppen, dvs. den så kallade järnbelastningen. Läkemedlet har även indikation för behandling av anemi vid myelodysplastiskt syndrom.

Forskningsbevisen om luspatercepts effekt och säkerhet grundar sig i huvudsak på den placebokontrollerade dubbelblinda fas III-studien BELIEVE, i vilken patienterna randomiserades i en luspaterceptgrupp (n=224) och en placebogrupp (n=112). Behandlingen varade i minst 48 veckor. Den andel patienter hos vilken den totala mängden enheter av röda blodkroppar minskade med åtminstone 33 procent under 13–24 veckor och enheterna av transfuserade röda blodkroppar minskade med minst två enheter jämfört med utgångsläget var 21 procent i luspaterceptgruppen och 4 procent i placebogruppen. Med andra ord uppnådde fyra av fem patienter som fått luspatercept inte ett terapisvar. Det finns inte ännu tillräcklig information om upprätthållandet av terapivaret och effekterna på järnbelastningen eller behovet av järnkellerande terapi. Utifrån de uppgifter som tjänsteutbudsrådet hade till sitt förfogande vid godkännandet av rekommendationen var det inte möjligt att bedöma den genomsnittliga varaktigheten för behandling med luspatercept.

Hos de patienter som fick luspatercept förekom det fler allvarliga incidenter än i placebogruppen. Också avbruten behandling på grund av en incident var vanligare hos de patienter som fick luspatercept.

Kostnadsanalysen är förknippad med flera osäkerhetsfaktorer. De årliga läkemedels- och doseringskostnaderna per patient vid behandling med luspatercept är cirka 84 000 euro. De årliga kostnaderna för behandling med transfusion av röda blodkroppar är i snitt 5 000 euro. Antalet beta-talassemipatienter som är beroende av transfusion av röda blodkroppar uppskattas i Finland till cirka 15 och antalet patienter som lämpar sig för behandling med luspatercept till cirka fem.

Beta-talassemi är en sällsynt ärftlig sjukdom som är ovanlig i Finland. Beta-talassemi orsakar anemi som ger upphov till trötthet, andfåddhet, förändringar i benstommen och tillväxtstörningar hos barn. En del av patienterna behöver regelbundet transfusioner av röda blodkroppar.

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](#).