

15.3.2018

Tämä suositus ei ole enää voimassa, vaan se on korvattu Palkon 4.2.2022 hyväksymällä suosituksella. [Linkki päivitettyyn suositukseen.](#)

Nusinerseeni SMA-taudin hoidossa

Hyväksytty Palkon kokouksessa 15.3.2018

Palkon Suositus	<p>Nusinerseeni-hoidon aloitus voisi kuulua kansalliseen palveluvalikoimaan SMA-taudin hoidossa kun</p> <ul style="list-style-type: none"> • potilaan SMA-diagnoosi on tehty ennen kahden vuoden ikää, ja • potilaan lääkärin toteamat oireet ovat alkaneet ennen 20 kuukauden ikää, ja • potilas on korkeintaan 17-vuotias, eikä • potilas ole pysyvän hengitystuen tarpeessa, eikä • hoidon toteuttamiselle ole muuta lääketieteellistä estettä. <p>Hoidon jatkaminen olisi lääketieteellisestä näkökulmasta arvioituna perusteltua potilailla, jotka ovat kliinisen arvion perusteella säännöllisessä seurannassa hyötynneet hoidosta.</p> <p>Nusinerseeni-lääkkeen nykyinen potilaskohtainen listahinta on kuitenkin liian korkea suhteessa odotettuun vaikuttavuuteen, jotta lääke voitaisiin ottaa palveluvalikoimaan edes edellä todetuilla potilailla.</p> <p>Muilla kuin edellä mainituilla SMA-tautia sairastavilla potilasryhmillä nusinerseeni-hoito ei ole lääketieteellisesti perusteltu.</p>	
Arvioinnin osa-alueet	<p>Terveysongelman vakavuus ja yleisyys</p>	<p>SMA-taudin taudinkuva eri alaryhmissä vaihtelee huomattavasti erittäin vaikeasta ja osalla potilasta kuolemaan imeväisiässä johtavasta taudista lievään lihasheikkouteen aikuisilla.</p> <p>Arviot vuosittaisten uusien SMA-potilaiden määrästä vaihtelevat 3-10 potilaan välillä. Fimean arviointiraportin perusteella Suomessa diagnosoitaisiin vuosittain enintään 8 uutta SMA-tautia sairastavaa potilasta, ja SMA-tautia sairastavia potilaita arvioidaan tällä hetkellä olevan enintään 180. Vain osa potilaista soveltuisi saamaan nusinerseeni-hoitoa.</p>
	<p>Vaikuttavuus</p>	<p>Nusinerseenin on todettu parantavan motorista toimintakykyä ja motorista kehitystasoa osalla lapsipotilaista, joilla on oireinen SMA-tauti. Lyhytkestoisten tutkimusten mukaan nusinerseeni pienentää imeväisiässä sairastuneiden SMA-potilaiden kuoleman riskiä tai pitkäkestoisen avustetun hengitystuen tarvetta lumehoitoon verrattuna, mutta tiedot hoidon pitkäaikaisvaikutuksista puuttuvat. Nusinerseeni ei paranna SMA-taudin aiheuttavaa geenivirhettä.</p>
	<p>Turvallisuus</p>	<p>Nusinerseenin annosteluun liittyen on raportoitu haittavaikutuksia, jotka vastaavat tavanomaisia lannepiston yhteydessä esiintyviä tapahtumia. Haittavaikutuksina on raportoitu erilaisia hengitysteihin liittyviä oireita, joiden erottaminen SMA-taudin luonnollisesta oirekuvasta on haastavaa. Tiedot hoidon pitkäaikaisvaikutuksista puuttuvat</p>
	<p>Kustannukset ja budjettivaikutukset</p>	<p>Yhden nusinerseeni-annoksen listahinta on noin 83 000 euroa. Potilaskohtaiset lääkekustannukset ensimmäisenä hoitovuonna olisivat noin 500 000 euroa ja seuraavina vuosina noin 250 000 euroa/vuosi.</p> <p>Fimean budjettivaikutusarvion mukaan SMA I-, SMA II- ja SMA III-potilaiden listahinnan perusteella yhteenlasketut nusinerseeni-hoidon lääkekustannukset olisivat ensimmäisenä hoitovuonna noin 13,5 miljoonaa euroa ja viidentenä vuonna noin 8,4 miljoonaa euroa, mikäli hoitoa saavia potilaita on vuosittain hieman alle 30.</p>
	<p>Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena</p>	<p>Nusinerseeni on hinnaltaan hyvin kallis lääke ja on eettisesti perusteltua rajata sen käyttö ainoastaan vaikeasti sairaisiin potilaisiin, joilla lääkehoito parantaa tai ylläpitää motorisia kykyjä ja vähentää lisäavun tarvetta.</p>



15.3.2018

Lisänäytön kerääminen	SMA on harvinainen sairaus ja tutkimusnäyttöä nusinerseeni-hoidon pitkäaikaisvaikutuksista on hyvin rajallisesti. Siksi on välttämätöntä kerätä systemaattisesti lisätietoa nusinerseeni-hoidon käytöstä, kustannuksista, hoitotuloksista ja turvallisuudesta sen mahdollisen kliinisen käytön yhteydessä.
Muuta	Palko antaa hoidon jatkamisessa sovellettavista tarkemmista lääketieteellisistä kriteereistä täydentävän suosituksen viimeistään syksyllä 2018. Suositus on voimassa korkeintaan vuoden 2022 loppuun saakka.
Diagnoosi (ICD-10)-koodit	G12.0 Lapsuuden spinaalinen lihasatrofia, tyyppi I (Werdnig-Hoffmann) G12.1 Muu perinnöllinen spinaalinen lihasatrofia
Taustatiedot ja lähteet	Palkon perustelumustio, Fimean arviointiraportti

KUMOTTU