

15.3.2018

**Denna rekommendation är inte längre i kraft, utan den har ersatts med en rekommendation som Palko godkänt 4 februari 2022. [Länk till den ersättande rekommendationen.](#)**

**Nusinersen vid behandling av sjukdomen SMA – Godkänd vid tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvårdens möte den 15 mars 2018**

Tjänsteutbudsrådets Rekommendation	<p>Inledande av behandling med nusinersen skulle kunna höra till det nationella tjänsteutbudet vid behandling av sjukdomen SMA när patientens SMA-diagnos har gjorts före två års ålder symptomerna som läkaren konstaterat börjat hos patienten före 20 månaders ålder patienten är högst 17 år patienten inte är i behov av kontinuerligt andningsstöd och det inte föreligger något annat medicinskt hinder för behandling.</p> <p>Att fortsätta behandlingen skulle, bedömd ur ett medicinskt perspektiv, vara motiverat i fråga om patienter som enligt en klinisk bedömning vid regelbunden uppföljning haft nytta av behandlingen.</p> <p>Det nuvarande listpriset per patient för läkemedlet nusinersen är dock alltför högt i förhållande till den förväntade effekten för att läkemedlet ens skulle kunna tas med i tjänsteutbudet för de patienter som konstaterats ovan.</p> <p>För andra patientgrupper som har sjukdomen SMA än de ovan nämnda är nusinersen-behandling inte medicinskt motiverad.</p>	
Delområden för utvärderingen	Hälsoproblemets svårighetsgrad och utbredning	<p>Sjukdombilden för sjukdomen SMA i de olika undergrupperna varierar betydligt från en mycket svår sjukdom som för en del patienter leder till döden i spädbarnsåldern till lindrig muskelsvaghet hos vuxna. Uppskattningar som gäller antalet nya SMA-patienter per år varierar mellan 3 och 10 patienter. Enligt Fimeas utvärderingsrapport diagnostiseras i Finland årligen högst 8 nya patienter som har sjukdomen SMA. Antalet patienter som har sjukdomen SMA bedöms för närvarande uppgå till högst 180. Endast en del av patienterna skulle vara lämpade att få nusinersen-behandling.</p>
	Effekter	<p>Nusinersen har konstaterats förbättra den motoriska funktionsförmågan och den motoriska utvecklingsnivån hos en del av de barnpatienter som har sjukdomen SMA med symptom. Enligt kortvariga undersökningar minskar nusinersen dödsrisken för SMA-patienter som insjuknat i spädbarnsåldern eller behovet av långvarigt assisterat andningsstöd jämfört med placebobehandling, men uppgifter om behandlingens långtidseffekter saknas. Nusinersen botar inte det genfel som orsakar sjukdomen SMA.</p>
	Säkerhet	<p>Biverkningar med anknytning till doseringen av nusinersen har rapporterats och de motsvarar vanliga incidenter i samband med spinalpunktion. Det har rapporterats om biverkningar i form av olika symptom som gäller andningsvägarna, och att särskilja dem från den naturliga symptom-bilden hos sjukdomen SMA är utmanande. Uppgifter om behandlingens långtidseffekter saknas.</p>
	Kostnader och budgetkonsekvenser	<p>Listpriset för en dos av nusinersen är cirka 83 000 euro. Läkemedelskostnaderna för en patient under det första behandlingsåret skulle vara cirka 500 000 euro och de följande åren cirka 250 000 euro/år. Enligt Fimeas budgetkonsekvensbedömning skulle de sammanräknade läkemedelskostnaderna för nusinersen-behandlingen enligt listpriset för SMA I-, SMA II- och SMA III-patienter under det första behandlingsåret vara cirka 13,5 miljoner euro och under det femte året 8,4 miljoner euro, om antalet patienter som får behandlingen årligen är något under 30.</p>



15.3.2018

Etik och ekonomi som en helhet	Nusinersen är i förhållande till sitt pris ett mycket dyrt läkemedel och det är etiskt motiverat att begränsa användningen av det till att endast omfatta svårt sjuka patienter för vilka läkemedelsbehandling förbättrar eller upprätthåller den motoriska förmågan och minskar behovet av ytterligare hjälp.
Insamling av ytterligare rön	SMA är en sällsynt sjukdom och det finns forskningsrön i mycket begränsad omfattning om långtidseffekterna av behandling med nusinersen. Därför är det nödvändigt att systematiskt samla in ytterligare information om användning, kostnader, behandlingsresultat och säkerheten i fråga om behandling med nusinersen i samband med en eventuell klinisk användning av det.
Övrigt	Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården utfärdar senast hösten 2018 en kompletterande rekommendation om de närmare medicinska kriterier som ska tillämpas vid fortsatt behandling. Rekommendationen gäller högst till utgången av 2022.
Diagnos (ICD-10)-koder	G12.0 Infantil spinal muskelatrofi, typ I (Werdnig-Hoffmann) G12.1 Annan hereditär spinal muskelatrofi
Bakgrundsmaterial och källor	Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvårdens motiveringspromemoria (på finska), Fimeas utvärderingsrapport (på finska, svensk resumé)