

Hyväksytty Palkon kokouksessa 5.5.2021

Palveluvalikoimaneuvoston suositus

Zynteglo beetatalassemian hoidossa

Zynteglo-hoito ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan punasolusirroista riippuvaisen beetatalassemian hoidossa.

Palveluvalikoimaneuvoston näkemyksen mukaan osoitetusta alkuvaiheen hoitovasteesta huolimatta hoidon pitkän aikavälin hyödyistä ja haitoista ei vielä ole tietoa. Hoidon kustannukset ovat korkeat suhteessa Zynteglo-hoidon odotettuihin hyötyihin ja näyttöön liittyvään epävarmuuteen.

Sisällys

1	Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja	1
2	Terveysongelma.....	1
3	Arvioitava menetelmä.....	1
4	Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan	2
5	Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi.....	3
6	Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset.....	4
7	Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat.....	5
8	Johtopäätökset.....	6
9	Yhteenveto suosituksesta.....	7
10	Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta	7
11	Suosituksen valmisteluun osallistuneet.....	7
12	Suosituksen hyväksymiseen osallistuneet.....	8
13	Suosituksen valmistelun vaiheet	8
14	Viitteet.....	9

Lyhenteet

FINOSE	Suomen, Ruotsin ja Norjan viranomaisten yhteishanke tuottaa lääkkeiden hoidollisia ja taloudellisia arviointeja
ICER	Inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde
QALY	Laatupainotettu elinvuosi (quality-adjusted life year)

Palkon suosituksista

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon tehtävänä on ohjata julkisesti rahoitettujen terveyspalveluiden järjestämistä antamalla suosituksia siitä, kuuluuko arvioitu terveydenhuollon menetelmä terveydenhuollon palveluvalikoimaan tietyn terveysongelman tutkimuksessa, hoidossa tai kuntoutuksessa.

Palkon suositus koostuu tästä varsinaisesta suosituksesta ja tiivistelmästä. Suositus julkaistaan taustamateriaaleineen Palkon [kotisivuilla](#) suomeksi. Tiivistelmä julkaistaan myös [ruotsiksi](#) ja [englanniksi](#).

Suosituksot perustuvat parhaaseen hyväksymishetkellä käytettävissä olleeseen lääketieteelliseen ja muuhun tietoon. Suositus on voimassa toistaiseksi, ellei voimassaoloaikaa ole rajoitettu.

Terveydenhuollon palveluvalikoiman määrittely sekä Palkon toiminta perustuu [terveydenhuoltolain \(1203/2014\) 7a](#) ja [78a](#) §:ään sekä [terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvostosta annettuun valtioneuvoston asetukseen \(63/2014\)](#) muutoksineen ([718/2017](#) ja [995/2019](#)).

[Palkon hyväksymä käsikirja](#) sisältää tarkemman kuvauksen käsittelyprosessista ja palveluvalikoiman määrittelyn periaatteista.

Palkon suositus ei ole kannanotto siihen, miten yksittäistä potilasta tulisi tutkia, hoitaa tai kuntouttaa, vaan siitä päätetään [potilaslain](#) mukaisesti hyödyt ja haitat yksittäistapauksessa punniten. Harkittaessa käytettäväksi menetelmää, joka on rajattu palveluvalikoiman ulkopuolelle, tulee huomioida [terveydenhuoltolain 7a §:n 3 momentin](#) säännös poikkeamisen lääketieteellisistä edellytyksistä. Poikettaessa palveluvalikoimasta korostuu velvollisuus perustella ja kirjata ratkaisun perusteet.

[Sairausvakuutuslain](#) mukaan palveluvalikoiman ulkopuolelle rajatusta hoidosta ei voi saada sairausvakuutuskorvausta.

1 Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja

Palkon suositus koskee Zynteglo (betibeglogene autotemcel) -hoidon käyttöä beetatalassemia-nimisen verisairauden hoidossa vähintään 12-vuoden ikäisillä potilailla, jotka tarvitsevat säännöllisiä punasolusiirtoja eli transfuusioita. Suositus perustuu Suomen (Fimea), Ruotsin (TLV) ja Norjan (NoMA) lääkeviranomaisten yhteistyönä tuottamaan FINOSE arviointiin¹, sekä Fimean siitä julkaisemaan tiivistelmään².

2 Terveysongelma

Beetatalassemia on periytyvä harvinaissairaus, jota esiintyy erityisesti Välimeren ja Lähi-Idän alueella sekä Etelä-Aasiassa. Suomessa se on harvinainen. Beetatalassemia aiheuttaa anemiasa, ja tautiin liittyviä oireita ovat väsymys, hengästyminen, luustomuutokset ja lasten kasvuhäiriöt. Osa beetatalassemiaa sairastavista tarvitsee säännöllisiä punasolusiirtoja. Säännölliset punasolusiirrot voivat aiheuttaa epänormaalin suuria rautapitoisuuksia veressä ja kehon eri elimissä. Tämä voi olla haitallista ajan myötä.

Punasolusiirroista riippuvaisia beetatalassemiapotilaita arvioidaan olevan Suomessa noin 15 ja Zynteglo-hoitoon soveltuvia potilaita noin viisi.

3 Arvioitava menetelmä

Zynteglo-hoidossa (betibeglogene autotemcel) potilaan omiin verta muodostaviin kantasoluihin siirretään geneettisesti muunneltua toimivaa beeta globiinia koodaava geeni. Valmiste sai ehdollisen myyntiluvan Euroopassa toukokuussa 2019. Kun muokatut kantasolut annetaan takaisin potilaalle, ne hakeutuvat luuytimeen ja alkavat tuottaa

¹ FINOSE joint assessment report – Zynteglo (autologous cd34+ cells encoding β A-T87Q-globin gene). Fimea 004528/12.01.01/2019.

² Oravilahti T, Härkönen U, Rannanheimo P. Zynteglo FINOSE-raportin kansallinen versio (julkaistu 5/2020). Dnro Fimea: 004528/12.01.01/2019.



siirrettyä geeniä ilmentäviä punasoluja. Tavoitteena on, että potilaan oma hemoglobiinituotanto nousee sellaiselle tasolle, että punasolusiiroista voidaan luopua.

Zynteglo-hoito on tarkoitettu vähintään 12-vuotiaiden potilaiden hoitoon, joilla on punasolusiiroistariippuvainen beetatalassemian muoto, joka ei ole β^0/β^0 -genotyyppiä (jota sairastavilla β -globiinia syntyy hyvin vähän tai ei ollenkaan) ja joille kantasolusiirto olisi asianmukainen hoitomuoto, mutta heille ei ole yhteensopivaa kantasolujen luovuttajaa.

Kyseessä on kertahoito, mutta se sisältää useita vaiheita:

- Kantasolut kerätään noin kaksi kuukautta ennen Zynteglo-valmisteen antamista.
- Ennen Zynteglo-hoitoa, potilas saa neljä vuorokautta kestävän esihoidon busulfaanilla, jolla potilaan olemassa olevat verta muodostavat solut tuhoetaan.
- Sen jälkeen tarvitaan vähintään kahden vuorokauden tauko ennen Zynteglon antamista.
- Zynteglo-valmiste annetaan infuusiona potilaalle.
- Potilasta seurataan sairaalassa 3-6 viikkoa.

4 Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan

Nykyinen beetatalassemiaan liittyvän anemian hoito koostuu säännöllisistä punasolusiiroista ja rautakelaatiohoidosta. Punasoluja annostellaan useimmiten 3-4 viikon välein, 2-3 yksikköä kerrallaan. Punasolusiirojen seurauksena elimistöön kertyy ylimääräistä rautaa, joka kasaantuu mm. sydämeen, maksaan ja endokriinisiin elimiin. Tämän rautakuorman hillitsemiseksi potilaat tarvitsevat rautaa elimistöstä poistavaa rautakelaatiohoitoa, joka voidaan toteuttaa suun kautta otettavilla valmisteilla tai yön yli kestävänä infuusiona ihon alle, 5-7 yönä viikossa. Kaikille potilaille punasolusiirot eivät ole mahdollisia, koska heille kehittyy punasoluvasta-aineita.

Ainoa beetatalassemian parantava hoito on toiselta henkilöltä saatu (allogeeninen) kantasolusiirto, mutta ongelmana on sopivan luovuttajan löytyminen. Kantasolusiirto tehdään yleensä ennen aikuisikää. Zynteglolle vaihtoehtoinen hoito voisi olla luspatersepti.

Tässä suosituksessa Zyntegloa verrataan toistuviin punasolusiirtoihin ja niihin liittyviin rautakelaatiohoitoihin.

5 Vaikuttavuus, turvallisuus ja näytön arviointi

Zynteglon kliininen tutkimusnäyttö perustuu kolmeen yksihaaraiseen tutkimukseen (HGB-204, HGB-205, HGB-207), joissa ei ole mukana vertailuryhmää. Lisäksi on käynnissä yksi yksihaarainen tutkimus (HGB-212). Näissä tutkimuksissa on hoidettu yhteensä 32 beetatalassemiaa sairastavaa yli 12-vuotiasta potilasta joilla ei ole β^0/β^0 -genotyyppiä. Hoidetuista potilaista 24:ltä voitiin arvioida punasolusiirtojen tarvetta. Lisäksi meneillään on faasin III HGB-212 (n=3) tutkimus sekä 15 vuoden seurantatutkimus LTF-303, johon kerätään tiedot edellä mainittujen yksihaaraisten tutkimusten potilaista, joilla on toteutunut 24 kuukauden seurantakäynti Zynteglo-infuusion jälkeen.

Päätulosmuuttuja oli transfuusioriippumattomuus, joka määriteltiin 12 kuukauden ajanjaksoksi, jolloin potilaan hemoglobiini oli keskimäärin ainakin 90 g/l ilman punasolusiirtoja. Tämän vasteen saavutti 24 potilaasta 20, eli 83 % (luottamusvälit 63-95 %). Myös niillä neljällä potilaalla, jotka eivät saavuttaneet tätä vastetta, punasolusiirtojen tarve väheni. Vaikutuksia elossaoloaikaan ei voida vielä arvioida lyhyen seuranta-ajan takia (mediaani 17-50 kuukautta, vaihteluväli 7-61 kuukautta). 17 potilaalla seuranta-aika oli kuitenkin yli kaksi vuotta ja seitsemällä potilaalla yli neljä vuotta. HGB-204 ja HGB-205 tutkimusten potilaista, joista on tiedot kuuden kuukauden kohdalta, 64 % (9/14) käytti edelleen rautakelaatiohoitoa. Niiden potilaiden, jotka olivat saavuttaneet transfuusioriippumattomuuden (n=7), seerumin ferritiinitaso oli 48 kuukauden kohdalla laskenut keskimäärin 70 % (39-85 %). Vastaavasti maksan rautapitoisuuden mediaani pieneni lähtötilanteesta 62,5 %. HGB-207 ja HGB-212 tutkimuksissa puolet potilaista (9/18) oli lopettanut rautakelaation vähintään kuudeksi kuukaudeksi. Vaikutusten arviointi potilaan rautakuormaan on vielä kesken. Vaikutuksia elämänlaatuun ei raportoitu.

Turvallisuus. Neljästä tutkimuksesta kootun aineiston (n=43) perusteella hoitoon liittyviä vakavia haittatapahtumia ilmeni 37 %:lla ja itse valmisteeseen liittyviä vakavia haittoja 2,3 %:lla. Yleisimpiä vakavia haittavaikutuksia (≥ 5 %) olivat maksalaskimoiden okklusiotauti, trombosytopenia, anemia, neutropenia ja kuume. Euroopan lääkeviraston mukaan on vaikeasti arvioitavissa, mitkä haitoista liittyvät Zynteglo-valmisteeseen. Pitkän aikavälin riskit eivät ole arvioitavissa. Tiedetään, että Zynteglo-hoitoa edeltävä esihoido voimakkaalla sytotoksisella eli soluja tuhoavalla busulfaanilla, heikentää hedelmällisyyttä ja voi aiheuttaa useanlaisia solumuutoksia ja syöpää. Samaa hoitoa joudutaan käyttämään myös ennen kantasolusiirtoa.

6 Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset

Yritys toimitti FINOSE-arviointia varten kustannusvaikuttavuusmallin, joka oli lokalisoitu Ruotsiin. Fimean arvion mukaan tämän analyysin tulokset antavat riittävän kuvan Zynteglo-hoidon inkrementaalisen kustannusvaikuttavuussuhteen (ICER) suuruusluokasta Suomessa. Mallissa Zynteglo-hoitoa verrattiin koko elinajan jatkuviin punasolunsiirtoihin ja rautakelaatiohoitoon. Myyntiluvan haltijan mukaan ICER oli noin 128 000 euroa/QALY, lisäelinvuosia tuotettiin 4,3 vuotta ja laatupainotettuja lisäelinvuosia (QALY) 8,2.

FINOSEn raportissa kustannuksia arvioitiin kahden skenaarion kautta. Ensimmäisen skenaariossa punasolunsiirtojen määrä laskettiin 15 vuodelle (yrityksen analyysissä 20 vuotta) ja oletettiin, ettei rautakelaatiohoitoihin liittyvässä elämänlaadussa ole eroa ryhmien välillä. Lisäksi oletettiin, että puolet Zyntegloa saaneista potilaista saisi lisäksi rautakelaatiohoitoa (yrityksen analyysissä 30 %). Näillä oletuksilla ICER olisi 162 000 euroa/QALY. Toisessa skenaariossa oletettiin lisäksi, ettei Zynteglo- ja punasolunsiirtohoitoryhmän välillä ole eroja kuolleisuudessa, jolloin ICER olisi 197 000 euroa/QALY. Näiden skenaarioanalyysien perusteella suoran alennuksen Zynteglon listahinnasta tulisi olla noin 30–50 %, jotta Zynteglo-hoitoa voitaisiin pitää kustannusvaikuttavana maksuhalukkuuden kynnyksarvoilla 50 000–100 000 euroa/QALY.

Arvio budjettivaikutuksesta koskee viiden potilaan hoitamista Zynteglolla. Ei ole mahdollista arvioida kuinka paljon uusia potilaita Suomessa tämän jälkeen vuosittain olisi, koska määrä voi vaihdella maahanmuuton seurauksena paljonkin.

Valmisteen listahinta Ruotsissa on 16 950 000 Ruotsin kruunua eli 1,56 miljoonaa euroa. Viiden potilaan osalta pelkät Zynteglo-valmisteseeseen liittyvät kustannukset olisivat 7,8 miljoonaa euroa.

Kustannusvaikuttavuusmallinnuksen mukaan Zynteglo-hoidon potilaskohtainen kokonaiskustannus olisi 1,7 miljoonaa euroa. Vertailuhoidon eli punasolusiirtojen ja rautakelaatiohoidon kokonaiskustannus on 660 000 euroa (3 %:n diskonttokorko), joten kustannusten erotus olisi noin miljoona euroa (1 044 177 euroa). Budjettivaikutuksen suuruuteen vaikuttaa Zynteglon lopullinen hinta, sopimusmenettely ja hoitoon soveltuvien potilaiden lukumäärä. Kokonaiskustannuksissa on huomioitava myös toisessa maassa annettavaan hoitoon liittyvät matka- ja sairaalakustannukset.

7 Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat

Beetatalasemia on harvinaissairaus, johon uudentyyppinen Zynteglo-hoito voisi olla mahdollisesti parantava hoito. Se mahdollistaisi niiden potilaiden hoidon, joille punasolusiirrot tai kantasolusiirto eivät sovellu. Zynteglo voisi parantaa yksittäisten beetatalasemiapotilaiden elämänlaatua, jos he hoidon avulla voisivat vapautua säännöllisistä punasolusiirroista. Elämänlaatua ei ole tutkimuksissa arvioitu.

Zynteglo on erittäin kallis hoito. Toistaiseksi ei tiedetä, onko kyseessä parantava hoito. Tutkimusnäyttöön liittyy paljon epävarmuutta, eikä Zynteglo-hoidon pitkäaikaisvaikuttavuudesta tai haitoista vielä tiedetä. On myös huomioitava esilääkityksenä käytetyn busulfaanin haitat mm. kykyyn saada lapsia tulevaisuudessa.

Hoito voidaan toteuttaa vain hoitomenetelmän valmistajan hyväksymissä hoitokeskuksissa, joita suunniteltiin Pohjoismaista Ruotsiin ja Tanskaan. Ruotsi on tehnyt poissulkevan päätöksen hoidosta ja päätöstä Tanskasta odotetaan kevään 2021 aikana. Suomalaisten potilaiden hoito tulisi mahdollisesti toteuttaa Saksassa, joka on ainoa Euroopan maa, jossa hoito on saatavilla. Hoito vaatii vähintään kaksi käyntiä hoitoyksikössä, ensimmäinen solujen keräystä varten ja toinen Zynteglo-hoidon antoa varten. On mahdollista, että solujen keräilykertoja tarvitaan useampia. Potilailla on oikeus

korvaukseen kustannuksista rajat ylittävästä terveydenhuollosta annetun lain (1201/2013) mukaisesti.

8 Johtopäätökset

Transfuusiorippuvainen beetatalassemia on vakava sairaus, jossa elinikäisten punasolusiirtojen ja rautakelaatiohoitojen tarve vaikuttaa elämänlaatua heikentävästi. Zynteglo-hoidolla todettiin tehoa, kun 83 % tutkimukseen osallistuneista saavutti riippumattomuuden punasolusiirroista 12 kuukauden ajanjaksona. Seuranta-aika on kuitenkin toistaisesti kovin lyhyt, eikä hoidon pitkäaikaisvaikuttavuutta voida arvioida. Kyseessä on kertahoito, jonka vaikutus on tarkoitus säilyä läpi elämän. Tällä hetkellä ei tiedetä, joudutaanko Zynteglo-hoidon saaneille antamaan punasiirtoja myöhemmin. Vaikutusten arviointi potilaan rautakuormaan on edelleen kesken. Lyhyestä seuranta-ajasta johtuen ei ole tiedossa, miten Zynteglo vaikuttaa raudan aiheuttamiin haittoihin tai kuolleisuuteen. Rautakelaatiohoitojen odotetaan kuitenkin jatkuvan vuosien ajan Zynteglo-hoidon jälkeen rautakuorman pienentämiseksi. Myöskään vaikutuksista elämänlaatuun ei tiedetä.

Zynteglo-hoitoon liittyviä vakavia haittoja todettiin 23 %:lla, eikä pitkäaikaishaitoista vielä tiedetä. Helmikuussa 2021 on ilmoitettu vastaavaa teknologiaa hyödyntävän, kehitteillä olevan valmisteiden tutkimuksissa syöpätapaus. Zynteglon myynti on keskeytetty turvallisuuteen liittyvien havaintojen tutkinnan ajaksi.

Palko toteaa, että hoidon kustannusvaikuttavuuden arviointiin liittyy paljon epävarmuutta. FINOSEN skenaarionalyysien mukaan hoidon ICER on mallista riippuen 162 000 euroa/QALY tai 197 000 euroa/QALY. FINOSEN arvioinnin mukaan vaadittaisiin 30–50 %:n alennus listahinnasta, jotta hoitoa voitaisiin pitää kustannusvaikuttavana.

Suomessa arvioidaan olevan tällä hetkellä viisi hoitoon soveltuvaa potilasta. Heidän hoitonsa lisäkustannukset olisivat noin 5 miljoonaa euroa. Potilasmäärä voi kuitenkin lisääntyä tulevaisuudessa maahan muuton seurauksena. Lisäkustannus ei ole Palkon näkemyksen mukaan perusteltu kliiniseen näyttöön liittyvän epävarmuuden ja hoidon kalliin hinnan takia. Yrityksen kanssa on neuvoteltu FINOSE-raportin pohjalta yhdessä

Norjan, Tanskan, Suomen ja Islannin kanssa. Neuvottelut eivät johtaneet hintaehtoihin tai sopimusmalliin, jonka avulla Zynteglo voitaisiin arvioida kustannusvaikuttavaksi hoidoksi.

9 Yhteenveto suosituksesta

Zynteglo-hoito ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan punasolusiiirroista riippuvaisen beetatalassemian hoidossa.

Palveluvalikoimaneuvoston näkemyksen mukaan osoitetusta alkuvaiheen hoitovasteesta huolimatta hoidon pitkän aikavälin hyödyistä ja haitoista ei vielä ole tietoa. Hoidon kustannukset ovat korkeat suhteessa Zynteglo-hoidon odotettuihin hyötyihin ja näyttöön liittyvään epävarmuuteen.

10 Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta

Hoidon myyntilupa on myönnetty ehdollisena. Euroopan lääkevirasto edellyttää, että sille raportoidaan meneillään olevien HGB-207- ja HGB-212-tutkimusten lopulliset tulokset joulukuussa 2021 ja LTF-303-tutkimuksen 5-vuotistulokset joulukuussa 2024. Lisäksi myyntiluvan haltijan ylläpitää rekisteriä (REG 501), jossa Zynteglo-hoidon saaneita potilaita seurataan 15 vuotta. Euroopan lääkevirasto on pyytänyt liittämään tähän rekisteriseurantaan vertailun kantasolusiirron tai punasolusiiroja saaneisiin beetatalassemia potilaisiin. Arkivaikuttavuustiedon (real world evidence) varmistamiseksi on tärkeää, että Zynteglon käyttöön ottavat maat pystyvät sopimaan yhteisestä tiedonkeruumallista ja tiedon hyödyntämisestä.

11 Suosituksen valmisteluun osallistuneet

Suosituksen valmisteluun Palkon lääkejaostossa (toimikausi 14.8.2020–30.6.2023) ovat osallistuneet:

Puheenjohtaja:

Professori, tutkimus- ja arviointiylilääkäri Miia Turpeinen, Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiiri

Jäsenet:

Ylilääkäri, Tarja Heiskanen-Kosma, Kuopion yliopistollinen sairaala

Toimialuejohtaja, Sirkku Jyrkkiö, Varsinais-Suomen sairaanhoitopiiri
Linjajohtaja, infektiotaudit, Asko Järvinen, HUS Helsingin yliopistollinen sairaala
Lääketieteellinen johtaja Vesa Kataja, KaikuHealth
Arviointiylilääkäri Niina Koivuviita, Varsinais-Suomen sairaanhoitopiiri
Yliproviisori Jaana Martikainen, Lääkkeiden hintalautakunta /STM
Arviointiylilääkäri Anna-Kaisa Parkkila, Pirkanmaan sairaanhoitopiiri
Läketaloustieteilijä Piia Rannanheimo, Fimea
Asiantuntija:
Ylilääkäri Jyrki Vanakoski, Lääkkeiden hintalautakunta/STM
Jaoston vastuusihteereinä ovat toimineet Palkon sihteeristön erityisasiantuntijat Sinikka Sihvo ja Reima Palonen sekä sivutoimisena sihteerinä syöpätautien erikoislääkäri Katariina Klintrup.

Asko Järvinen ei osallistunut tämän suosituksen valmisteluun.

12 Suosituksen hyväksymiseen osallistuneet

Puheenjohtaja: Sirkku Pikkujäämsä, Sosiaali- ja terveysministeriö

Jäsenet: Juha Auvinen, Oulun yliopisto

Teppo Heikkilä, Helsingin ja Uudenmaan sairaanhoitopiiri

Tapani Hämäläinen, Sosiaali- ja terveysministeriö

Ismo Linnosmaa, Itä-Suomen yliopisto

Heikki Lukkarinen, Varsinais-Suomen sairaanhoitopiiri

Minna-Liisa Luoma, Terveyden- ja hyvinvoinnin laitos

Mirva Lohiniva-Kerkelä, Lapin yliopisto

Marja Pöllänen, Turun yliopisto

Sari Raassina, Suomen Kuntaliitto

Kaisa Riala, Sosiaali- ja terveysalan lupa- ja valvontavirasto

Miia Turpeinen, Pohjois-Pohjanmaan sairaanhoitopiiri

Katri Vehviläinen-Julkunen, Itä-Suomen yliopisto

13 Suosituksen valmistelun vaiheet

Toukokuu 2020 Fimean arviointiraportin julkaisu 22.6.2020 Lääkejaoston alustava käsittely, suosituksen käsittelyn siirto odottamaan pohjoismaisia yhteishintaneuvotteluita
16.11.2020 suosituksen 1. käsittely lääkejaostossa
14.12.2020 suosituksen 2. käsittely lääkejaostossa
18.1.2021 suosituksen 3. käsittely lääkejaostossa
15.2.2021 suosituksen 4. käsittely lääkejaostossa
24.3.2021 Palko hyväksyi suositusluonnoksen vietäväksi otakantaa.fi-palveluun kommentoitavaksi
19.4.2021 suosituksen 5. käsittely lääkejaostossa
5.5.2021 Palko hyväksyi suosituksen

14 Viitteet

Oravilahti T, Härkönen U, Rannanheimo P. [Zynteglo FINOSE-raportin kansallinen versio](#) (julkaistu 5/2020). Dnro Fimea: 004528/12.01.01/2019.

FINOSE joint assessment report – [Zynteglo \(autologous cd34+ cells encoding \$\beta\$ A-T87Q-globin gene\)](#). Fimea 004528/12-01.01/2019.

Zynteglo. [Valmisteyhteenveto](#). [päivitetty 06/05/2020].