

SAMMANFATTNING AV REKOMMENDATIONEN FRÅN TJÄNSTEUTBUDSRÅDET FÖR HÄLSO- OCH SJUKVÅRDEN OM BEHANDLING AV BETA-THALASSEMI MED ZYNTEGLO

Tjänsteutbudsrådet antog rekommendationen på sitt sammanträde 5 maj 2021.

Enligt tjänsteutbudsrådets rekommendation hör behandling med Zynteglo inte till det nationella tjänsteutbudet, om läkemedlet används för att behandla beta-thalassemi som är beroende av transfusion av röda blodkroppar. Trots det påvisade terapivaret i initialskedet saknas fortfarande kännedom om långvariga fördelar och nackdelar med behandlingen. Behandlingskostnaderna är höga i förhållande till osäkerheten om evidens och de förväntade fördelarna med behandlingen med Zynteglo.

Zynteglo (betibeglogene autotemcel) är avsett för vård av patienter som har fyllt tolv år, som lider av transfusionsberoende beta-thalassemi med en icke- β^0/β^0 -genotyp och som stamcellstransplantation kan vara en lämplig behandlingsform för, men som inte har en matchande donator av stamceller. I behandlingen med Zynteglo överförs en fungerande genetiskt modifierad gen som kodar betaglobin till patientens egna stamceller som bildar blod. När de modifierade stamcellerna återförs till patienten transporteras de till benmärgen och börjar tillverka röda blodkroppar som uttrycker den överförda genen. Det är fråga om en engångsbehandling som ska påverka genom hela livet.

Data om effekten av Zynteglo bygger på fyra små studier som sammanställts i ett material om 24 patienter. Studien omfattade ingen kontrollgrupp. Zynteglo konstaterades ha effekt när 83 procent av patienterna i studien uppnådde oberoende av transfusioner av röda blodkroppar under en period på tolv månader. Tillsvidare är kontrolltiden dock mycket kort och det går inte att bedöma långtidseffekterna av behandlingen. För närvarande är det inte

känt om patienter som behandlats med Zynteglo kommer att få transfusioner av röda blodkroppar senare. Bedömningen av effekterna på patientens järnbelastning pågår fortfarande. På grund av den korta kontrolltiden är det inte känt hur Zynteglo påverkar järnrelaterade skador eller dödsfrekvens. Järnkelerande behandlingar förväntas dock fortsätta i flera år efter behandling med Zynteglo i syfte att minska järnbelastningen. Effekterna på livskvaliteten är inte heller kända.

Det råder stor osäkerhet kring bedömningen av behandlingens kostnadseffektivitet. Behandlingen beräknas medföra en merkostnad på cirka en miljon euro per patient jämfört med nuvarande behandling. För närvarande finns det i Finland enligt beräkningen fem patienter som är lämpade för behandling.

Beta-thalassemi är en sällsynt ärftlig sjukdom som inte är vanlig i Finland. Sjukdomen orsakar anemi och en del av dem som lider av beta-thalassemi behöver regelbundna 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](#).