

5.5.2021

STM051:00/2020  
VN/21565/2020

## TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA ZYNTEGLO BEETATALASSEMIAN HOIDOSSA

Suositus on hyväksytty Palkon kokouksessa 5.5.2021.

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

Zynteglo-hoito (betibeglogene autotemcel) on tarkoitettu vähintään 12-vuotiaiden potilaiden hoitoon, joilla on punasolusiiroistariippuvainen beetatalassemian muoto, joka ei ole  $\beta^0/\beta^0$ -genotyyppiä, ja joille kantasolusiiro olisi asianmukainen hoitomuoto, mutta heille ei ole yhteensopivaa kantasolujen luovuttajaa. Zynteglo-hoidossa potilaan omiin verta muodostaviin kantasoluihin siirretään geneettisesti muunneltua toimivaa beetaglobiinia koodaava geeni. Kun muokatut kantasolut annetaan takaisin potilaalle, ne hakeutuvat luuytimeen ja alkavat tuottaa siirrettyä geeniä ilmentäviä punasoluja. Kyseessä on kertahoito, jonka vaikutus on tarkoitus säilyä läpi elämän.

Tieto Zynteglon tehosta perustuu neljään pieneen tutkimukseen, joista koottiin 24 potilaan aineisto. Tutkimuksessa ei ollut mukana vertailuryhmää. Zynteglo-hoidolla todettiin tehoa, kun 83 % tutkimukseen osallistuneista saavutti riippumattomuuden punasolusiiirroista 12 kuukauden ajanjaksona. Seuranta-aika on kuitenkin toistaisesti kovin lyhyt, eikä hoidon pitkäaikaisvaikuttavuutta voida arvioida. 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.

Hoidon kustannusvaikuttavuuden arviointiin liittyy paljon epävarmuutta. Hoito aiheuttaisi arviolta noin yhden miljoonan euron lisäkustannukset potilasta kohden nykyhoitoon verrattuna. Suomessa arvioidaan olevan tällä hetkellä viisi hoitoon soveltuvaa potilasta.

Beetatalasemia on periytyvä harvinaissairaus, joka on Suomessa harvinainen. Se aiheuttaa anemiaa ja osa beetatalasemiaa sairastavista tarvitsee säännöllisiä punasolusiirtoja.

Tämä on tiivistelmä terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon hyväksymästä suosituksesta. Varsinaisen suosituksen ja sen taustamateriaalin löydät Palkon kotisivuilta [valmiiden suositusten sivulta](#).

Kotisivuilta löydät myös tiivistelmän [ruotsin-](#) ja [englanninkieliset](#) versiot.

Palko toimii sosiaali- ja terveysministeriön yhteydessä ja sen tehtävänä on antaa suosituksia terveydenhuollon menetelmien kuulumisesta julkisesti rahoitettuun terveydenhuoltoon. Lisätietoja terveydenhuollon palveluvalikoimasta voit lukea [Palkon kotisivuilta](#).