



Hyväksytty Palkon kokouksessa 5.5.2021

## Palveluvalikoimaneuvoston suositus

# **Ekulitsumabi neuromyelitis optica -kirjon häiriön (NMOSD) hoidossa**

**Ekulitsumabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan aaltomaisesti etenevän neuromyelitis optica -kirjon häiriön (NMOSD) hoidossa potilailla, joilla oli testillä todettu akvaporini 4 -vasta-aineita.**

**Palkon näkemyksen mukaan vaikuttavuutta ei ole pystytty osoittamaan riittävän luotettavasti ja sen kustannukset ovat liian korkeat, kun huomioidaan kliiniseen näyttöön liittyvä epävarmuus.**



## Sisällys

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

## Lyhenteet

AQP4	akvaporini 4-vesikanavaproteiini -testi, jolla voidaan todeta NMOSD
ARR	vuotuinen relapsien ilmaantuvuustiheys (annualized relapse rate)
NMOSD	Neuromyelitis optica -kirjon häiriö (Neuromyelitis optica spectrum disorder)



## Palkon suosituksista

Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon tehtävänä on ohjata julkisesti rahoitettujen terveystalveluiden 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.

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

## 1. Suosituksen kohde, rajaukset ja tietopohja

Suositus koskee neuromyelitis optica -kirjon häiriöiden hoitoa ekulitsumabilla. Suositus perustuu Fimean arviointikoosteeseen<sup>1</sup>.

## 2. Terveysongelma

Neuromyelitis optica -kirjon häiriö (NMOSD) on keskushermoston tulehduksellinen sairaus, joka ilmenee yleisimmin näköhermon tulehduksena ja selkäytimen tulehduksena eli myeliittinä. Näköhermon tulehdus voi olla yhdessä tai kahdessa silmässä, ja se aiheuttaa silmänsisäistä kipua sekä näön hämärtymistä. Selkäytimen tulehdus ilmenee esimerkiksi selkärangan ja raajojen kipuna. Lisäksi alaraajoissa voi esiintyä halvausoireita.

Tulehdusjaksot ovat toistuvia, ja uusiutuessa pysyvien vaurioiden riski kasvaa. Pysyviä rajoitteita voivat olla esimerkiksi näön ja liikuntakyvyn heikkeneminen. On arvioitu, että ilman uusiutumista ehkäisevää (immunosuppressiivista) hoitoa yli puolet potilaista joutuu käyttämään pyörätuolia tai sokeutuu toiminnallisesti.

NMOSD:aa pidetään autoimmuunitautina. Valtaosa potilaista (lähes 90 %) on keski-ikäisiä naisia. Suurimmalle osalle potilaista (65–88 %) kehittyy vasta-aineita akvaporini 4 -antigeeniä eli vesikanavaproteiinia vastaan, mitä voidaan nykyisin mitata laboratoriotestillä. Testi auttaa erottamaan neuromyelitis optica -taudin mm. multippeliskleroosista (MS).

NMOSD:n esiintyvyyttä Suomessa ei tiedetä. Ruotsin ja Tanskan esiintyvyysslukujen perusteella Suomessa voisi olla noin 60 potilasta ja osalle heistä voisi tulla harkittavaksi ekulitsumabi-hoito.

---

<sup>1</sup> Härkönen U, Kiviniemi V. Ekulitsumabi, arviointikooste (julkaistu 1/2021), Dnro: FIMEA/2020/007619a

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

### 3. Arvioitava menetelmä

Ekulitsumabi on monoklonaalinen vasta-aine. Se sitoutuu tiettyyn tulehdusta aiheuttavaan C5-komplementtiproteiiniin ja estää sen toimintaa ja estää siten elimistöä hyökkäämästä herkästi vaurioituvia verisoluja, munuaisia, lihaksia tai silmien hermoja ja selkäydintä vastaan ja tuhoamasta niitä.

Ekulitsumabi on määritelty harvinaislääkkeeksi NMOSD:n hoidossa. Lisäksi sillä on muita käyttöaiheita kuten kohtauksittainen yöllinen hemoglobiuria (PNH), atyyppinen hemolyytis-ureeminen oireyhtymä (aHUS) ja refraktorinen yleistynyt myasthenia gravis (gMG).

Ekulitsumabi annostellaan infuusiona laskimoon, alkuvaiheessa kerran viikossa viiden viikon ajan. Sen jälkeen seuraa ylläpitovaihe, jolloin lääkettä annostellaan kahden viikon välein. Hoitoa suositellaan jatkamaan potilaan koko eliniän, ellei lopettaminen ole kliinisesti aiheellista.

Potilaille tulee antaa meningokokkirokote vähintään kaksi viikkoa ennen hoidon aloitusta, koska vaikutusmekanisminsa vuoksi ekulitsumabi lisää potilaan alttiutta saada meningokokki-infektio.

### 4. Nykyinen tutkimus- ja hoitokäytäntö sekä menetelmä, johon verrataan

Pahenemisvaiheiden oireiden hoitoon käytetään laskimoon annosteltavia kortikosteroideja. Mikäli potilas ei saa vastetta tällaiselle steroidihoidolle, vaihtoehtona on plasmafereesi. Pitkäaikaishoidossa käytetään immunosuppressiivisia lääkkeitä kuten kortikosteroideja, atsatiopriinia, mykofenolaattimofetiilia tai rituksimabia. Immunosuppressiivisella hoidolla voidaan estää jopa puolet akuuteista pahenemisvaiheista. Rituksimabia on käytetty toisen linjan hoitona, koska siitä on osoitettu olevan hyötyä sellaisten potilaiden hoidossa, joilla ensilinjan immunosuppressiivinen hoito ei ole tuottanut toivottua tulosta. Tuoreessa meta-analyysissä (Gao ym 2019) rituksimabin todettiin vähentävän pahenemisvaiheiden määrää ja parantavan potilaiden toimintakykyä.

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

Ekulitsumabi on toistaiseksi ainoa myyntiluvallinen lääkevalmiste NMOSD:n hoitoon Euroopassa. Se on saanut myyntiluvan tähän käyttöaiheeseen vuonna 2019. Yhdysvalloissa on myönnetty vuonna 2020 myyntiluvat AQP4-positiivisen NMOSD:n hoitoon myös inebilitsumabille ja satralitsumabille. Euroopan lääkevirasto (EMA) on myöntänyt inebilitsumabille harvinaislääkestatuksen vuonna 2017, ja valmisteen arviointi EMAssa on aloitettu joulukuussa 2020. Myös satralitsumabin myyntilupahakemus on EMA:n käsittelyssä.

Tässä suosituksessa arvioidaan ekulitsumabin hoidollisia vaikutuksia ja kustannuksia aikuispotilailla, joilla on neuromyelitis optica -kirjon häiriö (NMOSD) ja joilla on todettu akvaporiini-4:n (AQP4) vasta-aineita ja joiden taudinkulku on uusiutuva eli relapsoiva. Hoitoa verrataan lumeeseen.

## 5. Vaikuttavuus ja turvallisuus

Vaikuttavuusnäyttö perustuu pääasiassa faasin III kaksoissokkoutettuun PREVENT-tutkimukseen ([NCT01892345](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT01892345)), jossa potilaat satunnaistettiin suhteessa 2:1 saamaan ekulitsumabia (n = 96) tai lumetta (n = 47). Lisäksi meneillään on PREVENT-tutkimuksen yksihaarainen jatkotutkimus (ECU-NMO-302, NCT02003144), jonka alustavia tuloksia on hyödynnetty lisänäyttönä.

Tutkimuksessa oli mukana aikuisia, joilla oli diagnosoitu AQP4-IgG-vasta-aine-positiivinen neuromyelitis optica tai NMOSD ja heillä oli ollut vähintään kaksi relapsia edeltävän 12 kuukauden aikana tai vähintään kolme relapsia edeltävän 24 kuukauden aikana. Potilaista 91 % oli naisia, ja iän keskiarvo oli 44 vuotta. Relapsien keskiarvo edeltävän 24 kuukauden ajalta oli 1,99 (keskihajonta 0,94). Toimintakykyä kuvaavan EDSS-pisteiden mediaani oli 4,0 (asteikko 0–10), mikä tarkoitti kohtalaista toimintakyvyn rajoittuneisuutta. 76 % sai tutkimuksen alkuhetkellä jotakin immunosuppressiivista lääkehoitoa.

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

Ensisijainen tulosmuuttuja oli itsenäisen arviointiraadin arvioima relapsi, jolla tarkoitettiin uusien neurologisten oireiden ilmaantumisesta tai aiempien neurologisten oireiden pahenemista. Relapseja arvioi myös hoitava lääkäri. Toissijaisia tulosmuuttujia olivat mm. vuotuinen relapsien ilmaantuvuusaste (ARR, annual relapse rate), toimintakykymittari EDSS-pisteet, modified Rankin Scale (mRS), Hauser Ambulation Index (HAI) sekä elämänlaatumittarit EQ-5D-3L ja EQ-5D-3L Summary Index. Toissijaisten tulosmuuttujien tilastollinen testaus tehtiin hierarkkisessa järjestyksessä.

Tutkimus keskeytettiin suunnitelman mukaisesti, kun 23 potilaan tauti oli uusiutunut, jolloin seuranta-ajan mediaani oli ekulitsumabi-ryhmässä 89,4 viikkoa ja lumeryhmässä 36 viikkoa. Riippumattoman arviointiryhmän mukaan relapsin koki 3 % ekulitsumabi-ryhmän potilaista ja 43 % lumeryhmän potilaista (hasardisuhde 0,06; 95 %:n LV 0,02–0,20). 48 viikon seurannassa tauti oli relapsivapaa 98 %:lla ekulitsumabi-ryhmän ja 63 %:lla lumeryhmän potilaista ja viikolla 96 vastaavasti 96 %:lla ja 52 %:lla. Relapsien vuotuinen ilmaantuvuusaste oli ekulitsumabi-ryhmässä 0,02 ja lumeryhmässä 0,35. Ekulitsumabi-ryhmässä todetuista kolmesta relapsista vain yksi oli vakava, kun taas lumeryhmässä yli puolet (13/20) relapseista luokiteltiin vakaviksi.

Ekulitsumabi-ryhmän potilaiden toimintakyvyssä tapahtui pientä paranemista kaikilla toimintakykymittareilla mitattuna ja lumeryhmän potilailla pientä huononemista. EDSS-pisteissä ei kuitenkaan ollut tilastollisesti merkitsevää eroa ekulitsumabi- ja lumeryhmien välillä. Koska ero ei ollut tilastollisesti merkitsevä, ei hierarkkisen järjestyksen vuoksi tehty muita tilastollisia vertailuja. Posterijulkaisujen (mm. Berthele ym. 2019, Palace ym. 2020) perusteella on viitteitä joistakin elämänlaatuvaikutuksista, mutta niissä ekulitsumabia ei ole verrattu nykyhoitoon.

Alaryhmäanalyyseissä ei tunnistettu potilasryhmiä, jotka hyötyisivät ekulitsumabi-hoidosta enemmän tai vähemmän kuin muut potilaat.

PREVENT-tutkimuksen jatkotutkimuksessa (ECU-NMO-302) oli mukana 81 % (n = 78) ekulitsumabi-ryhmän potilaista ja 87 % (n = 41) lumeryhmän potilaista. Kaikki potilaat saivat ekulitsumabia. Hoidon suunniteltu enimmäiskesto oli 5,5 vuotta. Ekulitsumabi-

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

hoidon keston mediaani seurantatutkimuksen aikana oli 20 viikkoa raportointihetkeen 31.10.2018 mennessä (vaihteluväli 0,1–198,4 viikkoa). Jatkotutkimuksessa ensisijainen tulosmuuttuja on hoitavan lääkärin määrittelemä vuotuinen relapsien ilmaantuvuustiheys, joka väheni ekulitsumabi/ekulitsumabi-ryhmässä 1,83:llä ja lume/ekulitsumabi-ryhmässä 2,03:lla verrattuna aikaan ennen PREVENT-tutkimusta.

Ekulitsumabin, inebilitsumabin, rituksimabin ja satralitsumabin vaikutuksia NMOSD:n hoidossa on selvitetty meta-analyysissä (Xue ym. 2020), jossa oli mukana neljä satunnaistettua tutkimusta, joissa kussakin verrattiin vaikuttavaa lääkettä lumeeseen. Kaikkien tutkittujen hoitojen todettiin vaikuttavan suotuisasti relapsien määrään ja potilaiden toimintakykyyn verrattuna lumehoitoon, mutta analyysin perusteella ei lääkeaineita voi asettaa paremmuusjärjestykseen. Toisin sanoen, ekulitsumabia ei ole tiettävästi verrattu muihin lääkehoitoihin NMOSD:n hoidossa suoraan eikä epäsuorasti.

Tieto ekulitsumabin turvallisuudesta perustuu PREVENT-tutkimuksen (n = 47 + 96) sekä PREVENT-tutkimuksen ja ECU-NMO-302-jatkotutkimuksen yhdistettyyn aineistoon (n = 137). Potilasvuosien määrään suhteutettuna haittatapahtumia ilmeni enemmän lumeryhmän potilailla, 1 163 vs. 754 tapahtumaa sataa potilasvuotta kohden. Tavallisimpia haittatapahtumia ekulitsumabi-ryhmän potilailla olivat ylähengitystieinfektiot (29 % potilaista, 31 tapahtumaa per 100 potilasvuosi, patient year PY), päänsärky (23 %, 55/100 PY) ja nenänielun tulehdus (21 %, 29/100 PY). Lumeryhmän potilailla yleisimpiä olivat NMOSD (34 %, 34/100 PY), pahoinvointi (26 %, 36/100 PY), päänsärky (23 %, 38/100 PY), virtsatieinfektio (21 %, 25/100 PY) ja raajakipu (21 %, 21/100 PY).

Vakavia haittatapahtumia (Serious Adverse Events, SAE) ilmeni enemmän lumeryhmässä kuin ekulitsumabi-ryhmässä, ja ne olivat todennäköisemmin hoitoon liittyviä. PREVENT-tutkimuksessa yleisin vakava haittatapahtuma oli NMOSD, joka ilmeni 34 %:lla lumeryhmän ja 7 %:lla ekulitsumabi-ryhmän potilaista. Muita vakavia haittatapahtumia ekulitsumabi-ryhmässä, olivat pneumonia (3 %), virtsatieinfektio (2 %), selluliitti (2 %) ja sepsis (2 %). Ekulitsumabi-ryhmässä 17 % potilaista ja lumeryhmässä 6 % keskeytti



STM051:00/2020  
VN/24882/2020

hoidon. Ekulitsumabin turvallisuusprofiili tässä käyttöaiheessa on yhdenmukainen ekulitsumabin aiempien käyttöaiheiden kanssa.

## **6. Menetelmän kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset**

Myyntiluvan haltija ei toimittanut kustannus-vaikuttavuusmallia Fimean arvioinnin pohjaksi. Ensimmäisen hoitovuoden ajalta ekulitsumabin lääkekustannukset ovat noin 497 000 euroa potilasta kohden ja seuraavina vuosina noin 478 000 euroa/vuosi. Annostelukustannukset (333 euroa/kerta) nostavat potilaskohtaisia kustannuksia noin 9000 eurolla vuodessa.

Arvio siitä, kuinka moni suomalainen potilas voisi saada hoitoa tähän käyttöaiheeseen, vaihtelee potilaskriteereistä riippuen 5–25 välillä. Asiantuntija-arvioiden mukaan potilaita voisi olla korkeintaan viisi, jos käyttö rajattaisiin vain niihin tilanteisiin, joissa potilaat ovat jo kokeneet useita relapseja.

## **7. Eettiset ja järjestämiseen liittyvät näkökohdat**

Ekulitsumabi on vuosikustannuksiltaan kallis hoito, varsinkin kun huomioidaan, että hoitoa voidaan jatkaa loppuelämän. Toistaiseksi ekulitsumabia ei ole verrattu muihin käytössä oleviin vaikuttaviin hoitoihin kliinisissä tutkimuksissa.

## **8. Johtopäätökset**

Neuromyelitis optica -kirjon häiriöt ovat harvinainen sairausryhmä, jonka esiintyvyyttä ja ilmaantuvuutta on vaikea arvioida. Suomessa sitä sairastaa arviolta noin 60 henkilöä. Arvio siitä, kuinka monelle heistä ekulitsumabi olisi soveltuva hoito, riippuu asetettavista potilaskriteereistä.

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

PREVENT-tutkimus osoitti, että ekulitsumabi vähensi relapsien lukumäärää lumeeseen verrattuna. Ekulitsumabi-ryhmän potilaista 3 % ja lumeryhmän potilaista 43 % koki relapsin. Tilastollisen testauksen hierarkkisen rakenteen vuoksi tutkimuksessa ei voitu osoittaa vaikutuksia potilaiden toimintakykyyn tai elämänlaatuun. Vaikutuksista elossaoloaikaan ei tiedetä.

Raportoidut haittavaikutukset olivat samoja kuin mitä ekulitsumabille on aikaisemmin raportoitu muiden käyttötarkoitusten yhteydessä. Haittatapahtumia ilmeni enemmän lumeryhmässä kuin ekulitsumabi-ryhmässä, erityisesti koska haittatapahtumina raportoitiin myös varsinaiseen tautiin liittyviä oireita, kuten NMOSD-taudin paheneminen.

Ekulitsumabi on toistaiseksi ainoa myyntiluvallinen lääkevalmiste NMOSD:n hoitoon Euroopassa. Muita lääkkeitä käytetään off label -hoitona eli virallisen käyttöaiheen ulkopuolella. Suoraa vertailua muihin käytössä oleviin lääkehoitoihin ei ole tehty. Myöskään epäsuoraa vertailua ei ole käytettävissä. NMOSD:n hoitoon on tulossa lähitulevaisuudessa uusia hoitovaihtoehtoja.

Ekulitsumabi-hoidon kustannukset NMOSD:n hoidossa ovat noin 500 000 euroa vuodessa. Vielä ei tiedetä, kuinka kauan hoitoa jatkettaisiin yksittäisten potilaiden kohdalla, mutta periaatteessa kyseessä on läpi elämän jatkuva hoito. Palkon näkemyksen mukaan kyseessä on kallis hoito, jonka kustannusvaikuttavuudesta ei ole tietoa. Kanada on yksi harvoista maista, joka on hyväksynyt ekulitsumabin NMOSD:n hoitoon. Kanadalaisten arvion (CADTH) mukaan hinnanalennuksen tulisi olla 96 %, jotta inkrementaalinen kustannusvaikuttavuussuhde (ICER) olisi hyväksytyllä alueella eli 50 000 Kanadan dollaria/QALY standardihoitoon verrattuna.

## 9. Yhteenveto suosituksesta

Ekulitsumabi ei kuulu kansalliseen palveluvalikoimaan aaltomaisesti etenevän neuromyelitis optica -kirjon häiriön (NMOSD) hoidossa potilailla, joilla oli testillä todettu akvaporiini 4 -vasta-aineita.

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

Palkon näkemyksen mukaan vaikuttavuutta ei ole pystytty osoittamaan riittävän luotettavasti ja sen kustannukset ovat liian korkeat, kun huomioidaan kliiniseen näyttöön liittyvä epävarmuus.

## **10. Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta**

Ekulitsumabia ei ole verrattu kliinisissä tutkimuksissa muihin aktiivisiin hoitovaihtoehtoihin ja tulokset koskevat ainoastaan niitä potilaita, joilla oli testillä todettu akvaporiniini 4 -vasta-aineita. Yksihaaraisen ECU-NMO-302-jatkotutkimuksen tiedonkeruu ensisijaisen tulosmuuttujan osalta on päättynyt kesäkuussa 2020. Tämä tutkimus ei tuo merkittävää lisätietoa ekulitsumabi-hoidon tehosta lumeeseen tai muihin hoitovaihtoehtoihin verrattuna tai vaikutuksista toimintakykyyn ja elämänlaatuun.

Meneillään on myös faasin II/III tutkimus (NCT04155424), johon rekrytoidaan 2–17-vuotiaita, jotka kaikki saavat ekulitsumabi-hoitoa. Tiedonkeruu ensisijaisen tulosmuuttujan osalta päättyy marraskuussa 2021 ja koko tutkimuksen osalta joulukuussa 2024.

## **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, infektioaudit, Asko Järvinen, HUS Helsingin yliopistollinen sairaala

Lääketieteellinen johtaja Vesa Kataja, KaikuHealth

Arviointiylilääkäri Niina Koivuviita, Varsinais-Suomen sairaanhoitopiiri

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

Yliproviisori Jaana Martikainen, Lääkkeiden hintalautakunta /STM  
Arviointiyli lääkäri Anna-Kaisa Parkkila, Pirkanmaan sairaanhoitopiiri  
Lääketaloustieteilijä Piia Rannanheimo, Fimea

Asiantuntija:

Yli lääkäri 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. Suosituksesta päättämiseen 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

STM051:00/2020  
VN/24882/2020

Katri Vehviläinen-Julkunen, Itä-Suomen yliopisto

### 13. Suosituksen valmistelun vaiheet

Tammikuu 2021 Fimean arviointikoosteen julkaisu

15.2.2021 suositusluonnoksen 1. käsittely lääkejaostossa

15.3.2021 suositusluonnoksen 2. käsittely lääkejaostossa

24.3.2021 Palko hyväksyi suositusluonnoksen vietäväksi otakantaa.fi-palveluun  
kommentoitavaksi

25.3.-15.4.2021 kommentointi

19.4.2021 suositusluonnoksen 3. käsittely lääkejaostossa

5.5.2021 Palko hyväksyi suosituksen

### 14. Viitteet

Berthele A ym. (2019) [Impact of eculizumab on reported quality of life in patients with aquaporin-4 antibody-positive neuromyelitis optica spectrum disorder: findings from the PREVENT study](#).ECTRIMS 2019

Gao F, Chai B ym. [Effectiveness of rituximab in neuromyelitis optica: a meta-analysis](#).  
BMC Neurology (2019) 19:36.

Härkönen U, Kiviniemi V. [Ekulitsumabi, arviointikooste](#) (julkaistu 1/2021), Dnro:  
FIMEA/2020/007619.

Soliris. [Valmisteyhteenveto](#).

Xue T, Yang Y ym. [Efficacy and Safety of Monoclonal Antibody Therapy in Neuromyelitis Optica Spectrum Disorders: Evidence from Randomized Controlled Trials](#). Mult Scler Relat Disord 2020; 43:102166.