

12.6.2018

## Sebelipaasi alfa-lääke lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa

Hyväksytty Palkon kokouksessa 12.6.2018

Palkon suositus	<p>Sebelipaasi alfa-hoito kuuluisi kansalliseen palveluvalikoimaan lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa infantile-onset-potilailla, mikäli sen hinta olisi merkittävästi alhaisempi. Lääkkeen nykyinen potilaskohtainen tukkumyyntihinta on kuitenkin kohtuuttoman korkea suhteessa odotettuun vaikuttavuuteen, jotta lääke voitaisiin ottaa palveluvalikoimaan edes infantile-onset-tautimuotoa sairastavilla potilailla.</p> <p>Infantile-onset -potilailla, joiden elintoiminnot ovat merkittävästi heikentyneet sairauden aiheuttamien muutosten takia, sebelipaasi alfa -hoidon aloittaminen tai jatkaminen ei ole lääketieteellisesti perusteltua. Sen sijaan näille potilaille tulee tarjota oireenmukainen hoito.</p> <p>Later-onset-tautimuotoa sairastavilla potilailla sebelipaasi alfa-hoito ei kuulu palveluvalikoimaan, koska sen vaikuttavuudesta ei ole riittävää näyttöä ja koska käytettävissä on muitakin lääkkeitä.</p>	
Arvioinnin osa-alueet	Terveysongelman vakavuus ja yleisyys	<p>Lysosomaalisen happaman lipaasin puutos on LIPA-geenin mutaatiosta johtuva rasva-aineenvaihdunnan häiriö, jossa rasva-aineita kertyy elimistöön. Kyseessä on harvinaissairaus, josta tunnetaan karkeasti jaoteltuna kaksi erilaista muotoa: yleensä jo ensimmäisten elinviikkojen aikana ilmenevä, nopeasti etenevä ja kuolemaan johtava infantile-onset-tautimuoto (Wolmanin tauti) sekä myöhemmin ilmenevä lievempi later-onset-tautimuoto (CESD, kolesteryyliesterien kertymä -sairaus), jossa elinajanodote voi parhaimmillaan olla normaali, mutta oirekuva, taudin vaikeusaste ja ennuste vaihtelevat yksilöiden välillä.</p> <p>Uusia infantile-onset-potilaita voisi ilmetä yksi joka kolmas vuosi. Later-onset-potilaiden esiintyvyys olisi arviolta 2–56.</p>
	Vaikuttavuus	<p>Sebelipaasi alfa-hoitoa saaneista infantile-onset-potilaista kahden vuoden iän saavutti suurempi osa kuin vertailuryhmän potilaista, mutta tietoa lääkkeen vaikutuksesta elämän laatuun ei ole. Later-onset-potilailla lääkkeellä on ollut suotuisa vaikutus korvikelopputuloksiin, mutta ei ole tietoa, miten hoito vaikuttaa elossaoloaikaan tai sairastavuuteen.</p> <p>Sebelipaasi alfa ei paranna sairauden aiheuttavaa geenivirhettä.</p>
	Turvallisuus	<p>Sebelipaasi alfa -hoitoon ei ole kuvattu liittyvän erityisiä, vakavia turvallisuusriskejä, mutta tutkimukset perustuvat pieniin potilasmääriin. Annosteluun liittyvät tavanomaiset laskimonsisäiseen lääkehoitoon liittyvät riskit.</p>
	Kustannukset ja budjettivaikutukset	<p>Yhden infantile-onset-potilaan lääkehoidon hinta vuodessa on 0,5–1,4 miljoonaa euroa ja later-onset-potilaan 0,2-0,9 miljoonaa euroa. Kokonaisbudjettivaikutuksen arviointi ei ole tarkoituksenmukaista potilaskohtaisen kustannuksen ja potilaiden määrän suuren vaihteluvälän takia.</p>
	Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena	<p>Sebelipaasi alfa poikkeuksellisen kallis lääke ja on eettisesti perusteltua rajata sen käyttö ainoastaan potilasryhmään, jolla lääkehoidon vaikuttavuudesta saatavilla näyttöä.</p>
	Diagnosikoodit	<p>E75.5 Muu rasva-aineiden kertymätauti (ICD-10) 275761 (ORPHA-koodi)</p>
	Taustatiedot ja lähteet	<p>Palkon perustelumuuisto, Fimean arviointikooste</p>