

SAMMAN- FATTNING

1.9.2021

1(2)

STM051:00/2020

VN/24875/2020

SAMMANFATTNING AV TJÄNSTEUTBUDSRÅDETS REKOMMENDATION FÖR BE- HANDLING AV NEURONAL CEROIDLIPOFUSCINOS TYP 2 (CLN2)

Rekommendationen har godkänts vid Palkos möte 1.9.2021.

Enligt rekommendationen ingår cerliponase alfa i det nationella tjänsteutbudet för behandling av neuronal ceroidlipofuscinosis typ 2 (CLN2) om innehavaren av försäljningstillståndet och köparen kommer överens om en betydande prissänkning.

Cerliponase alfa är avsett för behandling av en inlagringssjukdom kallad ceroidlipofuscinosis typ 2 (CLN2). Cerliponase alfa är en kopia av humant tripeptidylpeptidas-1 rekombinant protein (rhTPP1) som ersätter detta saknade enzym. Cerliponase alfa administreras varannan vecka genom infusion med en kirurgiskt installerad dosanordning i hjärnkammaren. Behandlingen kan fortsätta så länge patienten har nytta av den. Cerliponase alfa är för närvarande den enda godkända behandlingen för sjukdomen CLN2.

Effekten och säkerheten hos cerliponase alfa har främst studerats i en öppen 190-202 studie i fas 1/2 (n=23) utan kontrollgrupp. Jämförelser har gjorts med patientuppgifter som hämtats från den internationella CLN-sjukdomsdatenbanken. Baserat på resultaten saktar cerliponase alfa ner sjukdomens naturliga förlopp. 87 % (n=20) av patienterna uppnådde fastställt terapivärde när medianen för behandlingstiden var 116 veckor. Förändringar i hälsorelaterad livskvalitet har rapporterats i begränsad omfattning. Effekterna på överlevnaden kan ännu inte bedömas.

I motiveringen till rekommendationen konstateras att enligt kliniska bevis saktar cerliponase alfa ner sjukdomens naturliga förlopp, men forskningsuppgiften om effektens omfattning och varaktighet är osäker. Det finns betydande risker förknippade med doseringsmetoden. Behandlingen bör påbörjas så tidigt som möjligt.

Rekommendationen förutsätter att behandlingsenheterna har kommit överens om kriterierna för inledning och avslutning av behandling samt om de bedömningsmetoder som ska användas innan behandlingarna påbörjas. Förutsättningarna för fortsatt behandling bör bedömas regelbundet. Behandlingen är mycket dyr, över 500 000 euro per patient och år. Kostnaderna till det offentliga grossistpriset skulle vara orimliga med tanke på att behandlingen inte botar, utan endast saktar ner sjukdomens naturliga förlopp och att det finns osäkerhet om behandlingens förväntade hälsofördelar.

Ceroidlipofusinos typ 2 (CLN2) är en sällsynt progressiv sjukdom vars första symtom uppträder under andra och tredje året av livet. Sjukdomen leder till döden i barndomen eller tonåren. Det skulle möjligen finnas en eller högst ett fåtal patienter som lämpar sig för behandling i Finland.

Detta är en sammanfattning av rekommendationen som godkänts av tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården, Palko. Den egentliga rekommendationen och dess bakgrundsmaterial på finska finns på Palkos webbplats på [sidan färdiga rekommendationer](#).

På webbplatsen hittar du också en sammanfattning [på finska](#) och [engelska](#).

Palko är verksam i anslutning till social- och hälsovårdsministeriet och dess uppgift är att ge rekommendationer om metoder i hälso- och sjukvården som omfattas av offentligt finansierad hälso- och sjukvård. Ytterligare information om hälso- och sjukvårdens tjänsteutbud finns på [Palkos webbplats](#).

