

TIIVISTELMÄ

1(2)

27.10.2021

STM051:00/2020

VN/28713/2020

TIIVISTELMÄ PALKON SUOSITUKSESTA

ONASEMNOGEEENIABEPARVOVEEKKI (ZOLGENSMA) SMA-TAUDIN HOIDOSSA

Suositus hyväksytty Terveydenhuollon palveluvalikoimaneuvosto Palkon kokouksessa
27.10.2021

Palkon suosituksen mukaan onasemnogeeniabeparvoveekki (Zolgensma®) kuuluu kansalliseen palveluvalikoimaan spinaalisen lihasatrofian (SMA-taudin) tyyppin 1 (SMA1) hoidossa (2 SMN2-geenikopiota) edellyttäen, että valmisteen myyjä ja ostaja sopivat merkittävästi julkista tukkumyyntihintaa alemmasta hinnasta, jossa huomioidaan hoidon vaikuttavuus ja turvallisuus, sekä niihin liittyvä tiedon merkittävä epävarmuus. Lisäksi SMA1-potilaiden geenitestattujen nuorempien sisarusten Zolgensma-hoidon aloitus on mahdollista oireettomassa vaiheessa, jos se on kliinisen arvion mukaan perusteltua ja nuoremmalla sisaruksella on SMN1-geenin puutos sekä SMN2-geenikopiota kaksi.

Onasemnogeeniabeparvoveekki geeniterapiahoito on myyntiluvan mukaan tarkoitettu spinaalista lihasatrofiaa sairastaville -potilaille, joilla on SMN1-geenin bialleelinen mutaatio, ja joko SMA1:n kliininen diagnoosi tai enintään kolme SMN2-geenin kopiota. Kyseessä on kertahoito, joka annetaan laskimoinfuusiona. SMA-taudin hoitoon on aikaisemmin Euroopassa hyväksytty nusinerseni-lääke vuonna 2017.

Vaikuttavuus ja turvallisuus näyttö perustuu pieniin yksihaaraisiin tutkimuksiin, joissa ei ole vertailuhoitoa. Tutkimusnäyttö keskittyy vaikeimpiin SMA-taudin muotoihin eli kahden SMN2-geenikopion potilaisiin. Oireettomien SMA-potilaiden hoidosta, joilla on kaksi tai kolme SMN2-geenikopiota, on alustavia tietoja. Tulokset osoittivat Zolgensmalla hoidettujen SMA1-potilaiden (kaksi SMN2-geenin kopiota) elinajan pidentyvän ja motorisen toimintakyvyn parantuvan tukihoidon verrattuna lyhyen, 14 ja 18 kuukauden seurannan aikana.

Pidempiaikaista vaikuttavuustietoa on toistaiseksi vain rajoitetusti, ja tarvitaan tietoa siitä, säilyykö Zolgensma-hoidon avulla saavutettu motorinen toimintakyky potilaiden elinajan.

Zolgensma-hoidon kustannukset ovat merkittävät, noin 2 miljoonaa euroa, ja kustannus on kertaluonteinen. Zolgensman ja nusinerseenin kustannusvaikuttavuuden vertailuun liittyy suurta epävarmuutta.

Sekä Zolgensmaan että nusinerseeniin liittyy merkittäviä eettisiä kysymyksiä erityisesti joh-tuen epävarmuudesta pitkäaikaisvaikutusten ja –seurausten osalta.

Spinaalinen lihasatrofia (SMA) on harvinainen perinnöllinen neuromuskulaarinen sairaus, jossa selkäytimen hermosolujen vaurioituessa toimintakäskyt eivät etene lihaksiin. SMA-taudissa on useita alaryhmiä, jotka määritellään SMA2-geenin kopioiden lukumäärän, kliinisen kuvan ja sairastumisiän perusteella. SMA1 on erittäin vaikea, varhaisessa lapsuus-iässä kuolemaan johtava sairaus. SMA-taudin esiintyvyyden on arvioitu olevan noin 9,4 tapausta 100 000 elävänä syntynyttä lasta kohti. Arviolta 60% uusista SMA-tapauksista on SMA1-tyyppiä.

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](#).