

STM038:00/2017

1
2
3
4
5
6
7 **Palveluvalikoimaneuvoston suositus**

8
9 **Nusinerseeni-jatkohoidon kriteerit**

10
11
12
13
14 **Yhteenveto suosituksesta:**

15 Nusinerseeni-hoidon jatkaminen arvioidaan ensimmäisen kerran 12 kuukauden kuluttua hoidon
16 aloituksesta. Hoidon jatkaminen edellyttää, että osoituksena hoidon vaikuttavuudesta ensimmäisen
17 hoitovuoden jälkeen on nähtävissä itsenäistä toimintakykyä lisäävä ja avuntarvetta vähentävä hoitovaste.
18 Jatkossa nusinerseeni-hoidon jatkaminen arvioidaan aina 6 kuukauden välein. Arvio lääkehoidon
19 jatkamisesta tehdään yhdenmukaisin periaattein konsultoiden kansallista asiantuntijaryhmää, mikä
20 mahdollistaa yhdenvertaisuuden ja objektiivisuuden hoitopäätöksen perusteissa. Valmistelumuistiossa
on kuvattu tarkemmat jatkamisen kriteerit ja ne arviointimenetelmät, joita tulee ainakin soveltuvin osin
käyttää.

Suosituksen päivitys aloitetaan viimeistään 2021 ja silloin huomioidaan käytännön kokemukset
suosituksen toteutuksesta.

STM038:00/2017

21		
22	Lyhenteet	
23		
24	CHOP intend arviointimenetelmä	Children’s Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular
25		Disorders
26	HFMS arviointimenetelmä	Hammersmith Functional Motor Scale
27	HINE arviointimenetelmä	Hammersmith Infant Neurological examination
28	RULM arviointimentelmä	Revised Upper Limb Module
29	SBMAFRS	Spinal and Bulbar Muscular Atrophy Funtional Rating Scale
30		
31	SMA	Spinal muscular atrophy, selkäydintason sairaus, joka aiheuttaa
32		lihasten surkastumaa
33	RCT	Satunnaistettu tutkimusasetelma
34	PEG	Ravinto annetaan letkun kautta suoraan vatsalaukkuun siihen
35		laitetun avanteen avulla
36	6-MWT	6 minute walking test, 6 minuutin kävelytesti
37		
38		



STM038:00/2017

39

40 Sisällys

41

42	1.	Perusteet suosituksen laamiseen	4
43	2.	Suosituksen kohderyhmä	4
44	3.	Arvioitava menetelmä	4
45	4.	Vaikuttavuus ja turvallisuus sekä niihin liittyvät epävarmuustekijät.....	4
46	5.	Nykykäytäntö Suomessa	6
47	6.	Hoitovasteen arviointi	6
48	7.	Intervention kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset.....	7
49	8.	Johtopäätökset.....	8
50	9.	Yhteenveto suosituksesta	9
51	10.	Lisänäytön kerääminen ja suositusten vaikutusten seuranta.....	9

52

53

54

STM038:00/2017

55 **1. Perusteet suosituksen laatimiseen**

56

57 Palko antoi 15.3.2018 suosituksen nusinerseenin käyttöönoton edellytyksistä. Palko aloitti valmistelemaan
58 yhteistyössä SMA-potilaita hoitavien lastenneurologien kanssa tarkempia hoidon jatkamisessa sovellettavia
59 lääketieteellisiä kriteerejä, joilla voitaisiin varmistaa potilaiden yhdenvertainen kohtelu. Palkon sihteeristö
60 on tavannut hoitavien lastenneurologien valitsevat edustajat sekä myös aikuisneurologian klinisiä
61 asiantuntijoita yhteensä 3 kertaa. Jatkohoidon kriteeristöä on työstetty Palkon, lääkejaoston sekä klinisten
62 asiantuntijoiden kanssa aktiivisessa vuorovaikutuksessa. Myös SMA-lasten vanhempien näkökulma sekä
63 keskeiset tutkimustulokset on huomioitu. Yhteenvedo klinisten asiantuntijoiden ja vanhempien
64 tapaamisesta sekä tämän suosituksen kannalta keskeisistä tutkimustuloksista on erillisessä
65 valmistelumuiustiossa. Myös suosituksen lähdeluettelo on valmistelumuiustiossa.

66 **2. Suosituksen kohderyhmä**

67

68 Tämä suositus koskee Palkon 15.3.2018 päivätyn suosituksen mukaisesti nusinerseeni-hoitoa saavia
69 potilaita. Palko totesi tällöin johtopäätöksensä, että nusinerseeni-hoidon aloitus voisi kuulua kansalliseen
70 palveluvalikoimaan SMA-taudin hoidossa, kun potilaan SMA-diagnoosi on tehty ennen kahden vuoden ikää,
71 potilaan lääkärin toteamat oireet ovat alkaneet ennen 20 kuukauden ikää, potilas on korkeintaan 17 –
72 vuotias eikä potilas ole pysyvän hengitystuen tarpeessa tai ei ole muuta lääketieteellistä estettä hoidon
73 toteuttamiselle. Suosituksessa todettiin, että hoidon jatkaminen olisi lääketieteellisestä näkökulmasta
74 arvioituna perusteltua potilailla, jotka ovat klinisen arvion perusteella säännöllisessä seurannassa
75 hyötäneet hoidosta. Toisaalta nusinerseeni-lääkkeen silloisen potilaskohtaisen verottoman
76 tukkumyyntihinnan todettiin olevan liian korkea suhteessa odotettuun vaikuttavuuteen, jotta lääke
77 voitaisiin ottaa käyttöön edes edellä kuvatussa potilasryhmässä. Sitten lääke on otettu käyttöön
78 hintaneuvottelujen jälkeen, hinta ei ole julkinen.

79 **3. Arvioitava menetelmä**

80

81 Tämä suositus käsittelee kriteereitä, joiden perusteella arvioidaan nusinerseeni-hoidon jatkamisen
82 edellytykset potilailla, joille on aloitettu nusinerseeni-hoito Palkon aiemman suosituksen perustella.

83

84 **4. Vaikuttavuus ja turvallisuus sekä niihin liittyvät epävarmuustekijät**

85

86 Yhteenvedona SMA1-taudin luonnollista kulkua kuvaavista tutkimuksista voidaan todeta, että SMA1:ssa
87 karkeamotorinen suoriutumisen on parhaimmillaan pään hallintaa painovoimaa vastaan ja
88 diagnosointivaiheen jälkeen lapsi ei opi enää uusia karkeamotorisia taitoja. SMA1 voidaan jakaa kolmeen
89 alaryhmään (vaikea, tyyppillinen, keskivaikea) lihasheikkouden alkamisikänsä ja lihasheikkouden
90 etenemisnopeuden mukaan. Elinaikaennusteeseen vaikuttaa paitsi SMA1-alaryhmä, myös

STM038:00/2017

- 91 hengitystukihoidon (avustettu hengityksen tuki tai hengitystieavanne ja respiraattori) sekä ravitsemuksen
92 tukihoidon aloitus (nenämahaletku tai ravitsemusavanne eli gastrostooma/PEG).
- 93 SMA2 on hyvin heterogeeninen potilasryhmä. Paras karkeamotorinen taso saavutetaan ilmeisesti
94 viimeistään 3 vuoden ikään mennessä. Karkeamotorinen suoriutuminen voi olla pitkään joko stabiili ennen
95 heikentymistään tai joko heikentyä hitaasti vuosien aikana tai hyvin nopeasti jo ensimmäisinä elinvuosina.
96 Käsien lihasvoima alkaa heikentyä pienellä osalla ennen 5 vuoden ikää, mutta valtaosalla vasta sen jälkeen.
97 Elinaikaennuste on hyvin vaihteleva. Jonkinlaista hengityksen tukihoidon tarvitsee aikuisiällä vähintään
98 puolet, mutta ravitsemusavanteen tarve on vähäisempi kuin SMA1:ssä.
- 99 Näyttö nusinerseeni-hoidon vaikuttavuudesta perustuu kahteen RCT-tutkimukseen. Ensimmäisessä hoidon
100 kohderyhmä olivat SMA1-potilaat (Finkel ym. 2017) ja toisessa SMA2-potilaat (Mercuri ym. 2018).
101 Kummassakin tutkimuksessa oli tarkoin määritellyt sisäänottokriteerit ja hoidon tavoitteet, jotka on kuvattu
102 tarkemmin valmistelumuistiossa.
- 103 Tutkimustulokset SMA1-lasten osalta osoittivat, että mitä varhaisemmassa vaiheessa oireiden alkamisesta
104 hoito oli aloitettu, sitä parempi oli hoitovaste. SMA1:ä koskeva tutkimus keskeytettiin, koska
105 välianalyysissä 41 % nusinerseeni-ryhmästä ja 0 % lumeryhmästä oli edistynyt motorisesti, nusinerseeni-
106 ryhmästä oli kuollut 16 % ja lumeryhmästä 39 %. Lisäksi hengityksen tukihoidon aloitus nusinerseeni-
107 ryhmästä 39 %:lle ja lumeryhmästä 67 %:lle. Karkeamotorista edistymistä arvioitiin Hammersmith Infant
108 Neurological Examination (HINE-2) menetelmän avulla.
- 109 Tutkimustulokset osoittivat myös SMA2-lasten osalta, että mitä varhaisemmassa vaiheessa oireiden
110 alkamisesta hoito oli aloitettu, sitä parempi oli hoitovaste. Päämuuttujana oli karkeamotorinen
111 suoriutuminen ja ryhmätasolla ero oli 4.9 pistettä 15 kuukauden kohdalla Hammersmith Functional Motor
112 Scale (HMFS) – arviointimenetelmää käytettäessä (asteikko 0-66). Nusinerseeni saaneiden lasten ryhmässä
113 motorinen edistyminen oli kliinisesti merkittävä (vähintään 3 pistettä) 57 %:lla ja lumeryhmässä 26 %:lla.
114 Myös yläraajojen toiminnan edistyminen oli ryhmätasolla nusinerseeni-ryhmässä parempi.
- 115 Merkittäviä haittavaikutuksia ei ilmennyt kummankaan tutkimuksen aikana. Tutkimuksen jälkeen
116 lääketehdas on ilmoittanut uudesta haittavaikutuksesta, joka aiheuttaa aivonestekierron häiriön
117 (kommunisoiva hydrocephalus). Toistaiseksi ei tiedetä hoidon pitkäaikaisvaikutuksia eikä sitä, kuinka pitkään
118 edes varhain aloitetulla hoidolla voidaan parantaa motorista toimintakykyä.
- 119 Nusinerseenin käyttöön otosta on eri maissa tehty eri sisältöisiä päätöksiä, mikä selittynee
120 vaikuttavuustiedon vähäisyydellä sekä lääkkeen kalliilla hinnalla. Kansallisiin päätöksiin vaikuttaa myös
121 kansallinen lainsäädäntö (mahdollisuus käyttää erilaisia rajoituksia hoidon kohdentamisessa) sekä
122 mahdollisuus useamman maan yhteisiin hintaneuvotteluihin (hinnat ovat salaisia).
- 123 Kansainvälinen konsensus on siitä, että vaikuttavuustietoa tulee kerätä yhdenmukaisesti kaikista SMA-
124 potilaista, jotta taudin luonnollisesta kulusta sekä nusinerseeni-hoidon vaikutuksista taudin kulkuun
125 kliinisessä aineistossa saadaan luotettavampi kuva. Esimerkiksi Saksa, Itävalta ja Sveitsi ovat perustaneet
126 yhteisen rekisterin (SMARtCARE), jossa kaikki SMA-potilaat iästä, taudin muodosta ja annetuista hoidoista

STM038:00/2017

127 riippumatta arvioidaan yhtenäisin menetelmin (CHOP Intend, HFMS, RULM, 6-MWT, ALS Functional rating
128 scale aikuisilla, hengitysfunktio ja haittavaikutusten dokumentaatio).

129

130 5. Nykykäytäntö Suomessa

131

132 Tammikuussa 2019 saatujen tietojen mukaan Suomessa on aloitettu hoito 28 potilaalle (6 SMA1, 22 SMA2).
133 Yhdelläkään lapsella ei oltu todettu lääketieteellistä estettä hoitojen aloittamiseen, mutta vain osa täytti
134 nusinerseenin myyntiluvan perusteena olleiden lääketutkimusten mukaanottokriteerit. Lasten motorinen
135 suoriutuminen ja yleistilanne ennen hoidon aloitusta on siis ollut keskimäärin huonompi kuin tutkimuksissa
136 mukana olleilla. Tämän johdosta tutkimuksissa käytettyjen mittareiden avulla ei useinkaan ole pystytty
137 osoittamaan karkeamotorisesti mitattavaa muutosta. Kaikilla hoidetuilla lapsilla ja nuorilla on kuitenkin
138 tapahtunut jonkinasteinen muutos, joka on vaihdellut laadullisesta muutoksesta merkittävästi itsenäistä
139 toimintakykyä parantavaan ja osalla jo menetettyjä taitoja palautui. Yhteistä lapsille ja nuorille on ollut
140 pään hallinnan paraneminen ja yleisen väsyvyyden väheneminen. Joillakin lapsilla ja nuorilla yöheräämiset
141 ovat vähentyneet, mikä on tulkittu itsenäisen kääntymisen mahdollistumisena.

142 Lääkehoidon kehittymisen myötä myös sairauden muu hoito on muuttunut aktiivisemmaksi, mikä näkyy
143 erityisesti yöunen aikaisen hengitystukihoidon käytön lisääntymisenä sekä aktiivisemmassa
144 ravintotasapainon varmistamisessa. Näillä on vaikutusta yleiseen jaksamiseen sekä elämänlaatuun.

145 Vanhemmat kertoivat, että heille sekä lapsille ja nuorille tärkeintä on ollut taudin etenemisen
146 pysähtyminen, mikä on mahdollistanut tulevaisuuden suunnittelun. Vanhemmat totesivat kaikille yhteisinä
147 muutoksina vireystilan ja pään hallinnan paranemisen. Lapset olivat lisäksi kertoneet käsien käytön
148 vahvistuneen, mikä näkyy itsenäisyytenä pöytätason työskentelyssä painovoimaa vastaan ja joillakin myös
149 pyörätuolin kelaamisena pidempiä matkoja. Vain yksittäisillä lapsilla osa ennen lääkehoidon aloitusta
150 menetetyistä karkeamotorisista taidoista on palautunut.

151 Nusinerseeni-hoitoon liittyviä haittavaikutuksia on kliinisessä käytössä todettu vain muutamalla lapsella ja
152 nuorella. Yksittäinen, syntymekanismiltaan toistaiseksi selittämätön haittavaikutus on vakava, tehohoitoon
153 johtanut aineenvaihduntahäiriö. Hoitoprosessin aikana ilmaantui yksi keskushermostoinfektio, jonka vuoksi
154 hoitoprosessia on muutettu. Postpunctio-päänsärkyä on esiintynyt odotetusti ja yksittäisillä lapsilla on ollut
155 tilapäisesti kohonneita laboratorioarvoja. Haittavaikutusten profiili ja vaikeusaste täsmentyvät vasta
156 hoitokokemusten myötä.

157

158 6. Hoitovasteen arviointi

159

160 Yhteistyössä kliinisten asiantuntijoiden kanssa todettiin, että arvio hoidon jatkamisesta tulee tehdä
161 yhdenmukaisin periaattein konsultoiden kansallista asiantuntijaryhmää. Tämä mahdollistaa
162 yhdenvertaisuuden ja objektiivisuuden hoitopäätösten perusteluissa. Hoidon jatkaminen edellyttää, että

STM038:00/2017

163 osoituksena nusinerseeni-hoidon vaikuttavuudesta ensimmäisen hoitovuoden jälkeen on nähtävissä
164 itsenäistä toimintakykyä lisännyt ja avuntarvetta vähentänyt hoitovaste. Valmistelumuistiossa on kuvattu
165 ne arviointimenetelmät, joita tulee ainakin soveltuvin osin käyttää.

166 Ensimmäisen hoitovuoden jälkeen yksittäisen lapsen kliinisesti merkitsevää hoitovastetta arvioitaessa tulee
167 huomioida seuraavat tekijät:

- 168 - SMA1:ssa tauti etenee nopeammin ja myös hoitovaste on nähtävissä nopeammin.
169 Hoitovasteen tulee olla selkeä motorisen suoriutumisen paraneminen.
- 170 - SMA2:ssa yksilölliset erot ovat suuret niin parhaimman motorisen suoriutumisen tason kuin
171 taudin etenemisvauhdin suhteen. Vanhemmilla SMA-potilaille taudin progressio voi olla niin
172 hidasta, että tauti näyttäytyy stabiilina lyhyellä seurantavälillä. Karkeamotorisen toiminnan
173 muutoksen mahdollisuus riippuu myös kontraktuurista ja tehdyistä leikkauksista, eivätkä
174 tutkimuksessa käytetyt mittarit aina sovellu muutoksen mittaamiseen. Oleellista on, että
175 lapsesta ja nuoresta on käytettävissä luotettavaa seurantatietoa (mittaukset, videoinnit), joiden
176 avulla on mahdollista arvioida yksilöllinen hoidosta hyötyminen niin itsenäisen toimintakyvyn
177 kuin avuntarpeen näkökulmasta.
- 178 - Yöllinen hengitystukihoito ei ole nusinerseeni-hoidon vasta-aihe, sillä hengitysvajeen
179 korjaamisella on laajat ja pitkäkestoiset myönteiset vaikutukset sydän- ja verenkiertoelimistöön
180 sekä keskushermostoon ja sitä kautta valveillaoloajan toimintakykyyn.
- 181 - Pysyvän hengityksen tukihoidon tarve pitää olla alle 16h/vrk, jotta hoidon jatkaminen on
182 perusteltua

183
184 Hoidon jatkamisen arvioinnissa 18 kuukauden kohdalla ja sen jälkeen aina 6 kuukauden välein huomioitava:

- 185 - Karkea tai hienomotorinen edistyminen siten, että itsenäinen toimintakyky paranee ja avun
186 tarve vähenee, on hoidon jatkamisen perusta
- 187 - Jos edistymistä ei ole enää tapahtunut, on arvioitava, mikä on ensimmäisen
188 vuoden/aikaisemmin annetulla hoidolla saavutettu hyöty lapsen itsenäisen toiminnan ja
189 avuntarpeen näkökulmasta ja mitä merkitsisi, jos nämä nusinerseeni-hoidon lopettamisen
190 myötä menetettäisiin. Jos hoitoa päädytään jatkamaan, se on kuitenkin perusteltua
191 myöhemmin lopettaa, jos tauti etenee nusinerseeni-hoidosta huolimatta.
- 192 - Motorisen suoriutumisen heikkeneminen on lopettamisen indikaatio
- 193 - Jos päiväaikainen hengitystukihoito (h/vrk) lisääntyy pysyvästi (vähintään 21 vuorokauden ajan
194 ilman samanaikaista hengitystieinfektiota), nusinerseeni-hoito on perusteltua lopettaa.
195 Hengityksen tukihoidon tarve on arvioitava ennen jokaista hoitokertaa.

197 **7. Intervention kustannukset, kustannusvaikuttavuus ja budjettivaikutukset**

198

199 Fimean arviointiraporttiin sisältyvän budjettivaikutusarvion mukaan ensimmäisenä vuonna nusinerseeni-
200 hoitoon soveltuvia potilaita olisi ollut Suomessa seuraavasti: SMA1-potilaita 2 ja SMA2-potilaita 10.
201 Viidentenä vuonna potilasmäärän arvioitiin olevan yhteensä 15, kun huomioitiin uudet diagnosoidut SMA-
202 potilaat (kolme SMA1-potilasta ja kaksi SMA2-potilasta vuosittain) ja hoitoa todennäköisesti jatkavat.
203 Kliinisessä käytännössä nusinerseeni-hoito on aloitettu tammikuuhun 2019 mennessä yhteensä 28
204 potilaalle ja yhdenkään lapsen hoitoja ei ole toistaiseksi lopetettu. Täten nusinerseeni-hoidon
205 kokonaiskustannukset ovat jo ensimmäisenä hoitovuotena merkittävästi Fimean ennakoimaa suuremmat

STM038:00/2017

206 (verottoman tukkumyyntihinnan mukaan 14 milj € vs 6 milj €), joskaan Palkolla ei ole tiedossa neuvoteltua
207 todellista hankintahintaa/hoidoanos. Hoitojen toteuttaminen edellyttää myös merkittävää
208 henkilöstöresurssien käyttöä.

209 Toisaalta hoitovasteet voivat yksilötasolla näkyä apuvälineiden tai avun tarpeen vähenemisenä
210 päivittäisissä toiminnoissa (itsenäinen syöminen, manuaalipyörätuolilla liikkuminen, mahdollisuus kääntyä
211 itsenäisesti yön aikana). Nämä muutokset vaikuttavat ensisijaisesti lapsen sekä läheisten elämänlaatuun,
212 mutta eivät merkittävästi kustannuksiin.

213 8. Johtopäätökset

214

215 Nusinerveeni on ensimmäinen lääkevalmiste, jolla on osoitettu olevan vaikutusta SMA1 ja SMA2 -tautien
216 luonnolliseen kulkuun. Hoidon ensisijaisena tavoitteena on ollut motorisen suoriutumisen parantaminen.
217 Tutkimukset ovat osoittaneet, että mitä nuorempana hoito on voitu aloittaa, sitä todennäköisemmin myös
218 karkeamotorinen hoitovaste on ollut kliinisesti merkittävä. Kliinisessä käytännössä nusinerveenia on
219 annettu myös lapsille, joille on tehty selän jäykistysleikkaus tai joille on jo kehittynyt merkittäviä nivelten
220 liikerajoituksia. Lääketieteellisiä perusteita olla kokeilematta hoitoa ei ole todettu. Tästä johtuen kliininen
221 potilasryhmä on ollut hoidon aloitusvaiheessa toimintakyvyltään merkittävästi lääketutkimuksissa mukana
222 olleita heikempi, eikä lääketutkimuksissa tavoitteeksi asetettuja motorisia muutoksia ole useiden potilaiden
223 kohdalla ollut mahdollista saavuttaa. Muutokset ovat olleet hyvin yksilöllisiä vaihdellen laadullisista
224 muutoksista (yleinen jaksavuus parempi) sellaisiin merkittäviin itsenäistä toimintakykyä parantaviin ja avun
225 tarvetta vähentäviin muutoksiin, joita ei olisi ollut mahdollista saavuttaa ilman nusinerveeni-hoitoa taudin
226 normaali progressiivinen kulku huomioiden.

227 Nusinerveeni-lääkkeen tosiasiallinen, kunkin sairaalan lääkeyrityksen kanssa sopima hankintahinta ei ole
228 julkinen, eikä Palkon tiedossa. Kokonaisuudessa hoidon toteutus edellyttää merkittäviä resursseja niin
229 moniammatillisen henkilökunnan kuin taloudellisten voimavarojen kohdentamisen suhteen. Optimaalinen
230 kokonaisuuden toteutus ja vaikutusten arviointi edellyttävät lisäksi toiminnan jatkuvaa kehittämistä.

231 Nyt käytössä olevat ja Palkon konsultoimien kliinisten asiantuntijoiden suosittamat mittarit eivät sovellu
232 kaikkien potilaiden hoitovasteen arviointiin, joten motorisen suoriutumisen objektiivinen varmistaminen
233 videointien avulla on tärkeää. Vastaavat mittarit ovat myös kansainvälisessä käytössä arvioitaessa
234 hoitovastetta. Palko katsoo, että hoidon jatkamisesta päätettäessä on varmistettava potilaiden
235 yhdenvertainen kohtelu. Tämä on myös kliinisten asiantuntijoiden toive. Tämän vuoksi Palko suosittaa,
236 että jatkohoidon edellytyksiä tulisi arvioida yliopistosairaaloiden yhteisessä arviointiryhmässä. Tässä
237 suosituksessa ja valmistelumuistiossa on esitetty ne kriteerit, jotka ovat yhtenäisen arvioinnin perusteet.
238 Hoidon vaikutukset tulee arvioida ensimmäisen kerran 12 kuukautta hoidon aloituksesta ja hoitojen
239 jatkaminen arvioidaan 6 kuukauden välein.

240 Tällä hetkellä nusinerveeni-hoito on toteutettu neljässä yliopistosairaalassa, joista kaksi on vastannut
241 hoidon suunnittelusta ja toteutuksesta 90 %:lla potilaista. Arviolta 1-2 nuorta siirtyisi vuosittain
242 aikuisneurologien seurantaan, mutta neurologisissa yksiköissä ei ole vielä kokemusta hoidon toteutuksesta
243 tai hoitovasteen arvioinnista. Myös muiden tukihoidojen roolin selkeytyminen vaikuttaa toteutettavan

STM038:00/2017

244 hoidon kokonaisuuteen. SMA-potilaiden nusinerseeni-hoidon toteutus aikuispotilailla edellyttää
245 erityisosaamista riittävän taidon ja osaamisen saavuttamiseksi ja ylläpitämiseksi sekä merkittäviä
246 voimavaroja hoidon laadun, potilasturvallisuuden ja vaikuttavuuden varmistamiseksi. Tässä vaiheessa
247 tarkoituksenmukaista olisi, että 16-20 vuotiaiden nusinerseeniä saavien potilaiden kokonaisuhoito
248 suunnitellaan yhteistyössä lastenneurologian ja aikuisneurologian moniammatillisten työryhmien kanssa.
249 Yliopistosairaaloiden tulisi keskittämisesetuksen puitteissa huolehtia yhteistyössä toiminnan
250 yhdenvertaisesta ja vaikuttavasta toteuttamisesta koko maassa ja tarvittaessa sopia aikuispuolelle siirtyvien
251 potilaiden hoidon keskittämisestä toistaiseksi yhteen sairaalaan kokemusten kertymiseksi.

252 Nusinerseeni-hoidon pitkäaikaisvaikutuksista ja mahdollisista haittavaikutuksista ei ole vielä riittävästi
253 tietoa, joten suositus jatkohoidosta voidaan tehdä vain määräaikaiseksi. Kliininen kokemus on osoittanut,
254 että nusinerseeni-hoidolla on mahdollisuus vaikuttaa taudin etenemiseen tavalla, jonka merkitystä ei vielä
255 pystytä luotettavasti arvioimaan. Toistaiseksi on myös epäselvää, onko yksilöllisesti mahdollista pidentää
256 hoitovälejä tai pienentää annosta, jotka ovat tällä hetkellä samat taudin muodosta, potilaan iästä tai
257 painosta riippumatta.

258 Tämän suosituksen päivitys aloitetaan vuonna 2021, jolloin nusinerseeni-hoidon kohderyhmä ja jatkamisen
259 kriteerit arvioidaan uudelleen. Kliinisten asiantuntijoiden tulee kerätä vähintään tässä suosituksessa ja sen
260 valmistelumuistiossa nimettyjen arviointimenetelmien avulla systemaattisesti tietoa SMA1 ja SMA2 -
261 potilaiden toimintakyvystä ennen nusinerseeni-hoidon aloitusta, sen aikana sekä hoidon lopettamisen
262 jälkeen. Tietoa tullaan käyttämään suosituksen päivityksessä.

263

264 **9. Yhteenveto suosituksesta**

265

266 Nusinerseeni-hoidon jatkaminen arvioidaan ensimmäisen kerran 12 kuukauden kuluttua hoidon
267 aloituksesta. Hoidon jatkaminen edellyttää, että osoituksena hoidon vaikuttavuudesta ensimmäisen
268 hoitovuoden jälkeen on nähtävissä itsenäistä toimintakykyä lisäävä ja avuntarvetta vähentävä hoitovaste.
269 Jatkossa nusinerseeni-hoidon jatkaminen arvioidaan aina 6 kuukauden välein. Arvio lääkeshoidon
270 jatkamisesta tehdään yhdenmukaisin periaattein konsultoiden kansallista asiantuntijaryhmää, mikä
271 mahdollistaa yhdenvertaisuuden ja objektiivisuuden hoitopäätöksen perusteissa. Valmistelumuistiossa on
272 kuvattu tarkemmat jatkamisen kriteerit ja ne arviointimenetelmät, joita tulee ainakin soveltuvin osin
273 käyttää.

274 Suosituksen päivitys aloitetaan viimeistään 2021 ja silloin huomioidaan käytännön kokemukset suosituksen
275 toteutuksesta.

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

277

278 Suosituksen uudelleenarviointia varten tarvitaan tietoja Suomessa hoitoa saaneista potilasta



STM038:00/2017

- 279 – Kuinka monta potilasta on hoidettu Suomessa vuosina 2018–2021, mikä on
- 280 ollut hoidon aloitusikä ja SMA-tyyppi
- 281 – Toimintakyky ennen hoitoa ja hoidon eri vaiheessa käyttäen soveltuvien osin
- 282 vähintään tässä suosituksessa esitettyjä mittareita
- 283 – Hoidon jatkamisen peruste
- 284 – Hoidon lopettamisen peruste
- 285 – Hoidon aikana ilmaantuneet haittavaikutukset

LUONNOS