**Sebelipaasi alfa lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa**

**Hyväksytty Palkon kokouksessa xx.x.2018**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| Palkon suositus | | Sebelipaasi alfa-hoito kuuluisi kansalliseen palveluvalikoimaan lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen hoidossa infantile-onset-potilailla, mikäli sen hinta olisi merkittävästi alhaisempi. Lääkkeen nykyinen potilaskohtainen listahinta on kuitenkin kohtuuttoman korkea suhteessa odotettuun vaikuttavuuteen, jotta lääke voitaisiin ottaa palveluvalikoimaan edes infantile-onset-tautimuotoa sairastavilla potilailla.  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.  Later-onset-tautimuotoa sairastavilla potilailla sebelipaasi alfa-hoito ei ole lääketieteellisesti perusteltu. |
| Arvioinnin osa-alueet | Terveysongelman vakavuus ja yleisyys | Lysosomaalisen happaman lipaasin puutos on LIPA-geenin mutaatiosta johtuva rasva-aineenvaihdunnan häiriö, jossa rasva-aineita kertyy elimistöön. Kyseessä on harvinaissairaus, josta tunnetaan 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.  Uusia infantile-onset-potilaita voisi ilmetä yksi joka kolmas vuosi. Later-onset-potilaiden esiintyvyys olisi arviolta 2–56. |
| Vaikuttavuus | 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.  Sebelipaasi alfa ei paranna sairauden aiheuttavaa geenivirhettä. |
| Turvallisuus | Sebelipaasi alfa –hoitoon ei ole kuvattu liittyvän erityisiä, vakavia turvallisuusriskejä, mutta tutkimukset perustuvat pieniin potilasmääriin. Annosteluun liittyvät tavanomaiset laskimonsisäiseen lääkehoitoon liittyvät riskit. |
| Kustannukset ja budjettivaikutukset | 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 vaihteluvälin takia. |
| Eettisyys ja taloudellisuus kokonaisuutena | Sebelipaasi alfa poikkeuksellisen kallis lääke ja on eettisesti perusteltua rajata sen käyttö ainoastaan potilasryhmään, jolla lääkehoidon vaikuttavuudesta saatavilla näyttöä. |
| Diagnoosi (ICD-10)-koodit | E75.5 Muu rasva-aineiden kertymätauti |
| Taustatiedot ja lähteet | Palkon perustelumuistio, Fimean arviointikooste |