

## **Amgenin kommentti Fimean julkaisemaan arviointiraporttiin:**

### **Karfiltsonibin, deksametasonin ja daratumumabin yhdistelmähoito uusiutuneen multippelin myelooman hoidossa**

Kiitämme Fimeaa arvioinnista ja mahdollisuudesta kommentoida sitä. Haluamme jatkossakin kehittää yhteistyötä lääkealan toimijoiden välillä, jotta sairaalalääkkeiden käyttöönotto ja siihen liittyvä päätöksenteko on ennakoitavaa ja mahdollistaa innovatiivisten, potilaiden terveyttä merkittävästi hyödyttävien lääkkeiden saatavuuden potilaille taloudellisesti kestäväällä tavalla.

#### **Lääkkeestä hyötyvät potilaat**

Myelooman hoito kehitty nopeasti ja tällä hetkellä erilaisia mahdollisia hoitoyhdistelmiä on saatavilla suuri määrä. CANDOR-tutkimuksessa kaikki potilasalaryhmät hyötyivät daratumumabin lisäämisestä Kd- hoitoyhdistelmään. Relapsoituneen taudin hoidon valintaan vaikuttaa mitä hoitoja on aiemmin käytetty myelooman hoidossa. Suurin tarve tällaiselle niin sanotulle ”imid-vapaalle” KdD-hoitoyhdistelmälle on ensimmäisen ja toisen relapsin potilailla, jotka eivät enää hyödy tai siedä lenalidomidihoitoa ja ovat mahdollisesti korkean riskin potilaita.

#### **Terveystalousanalyysi**

Fimea on arviointiraportissaan tuonut esille kustannusvaikuttavuusanalyysia koskevia epävarmuustekijöitä, joista keskeisin liittyy kokonaiselossaoloajan mallintamiseen. Keskeisinä oletuksina ovat parametrusten jakaumien valinta ja CANDOR-tutkimuksen ulkopuolisen tiedon käyttö kokonaiselossaoloajan mallintamisen tukena.

Tunnistamme Fimean esiintuomat terveystalouksmallinukseen liittyen epävarmuustekijät. Esiintuodut epävarmuustekijät ovat kuitenkin tyypillisiä pitkän aikavälin mallinnukselle, ja esittämässämme analyysissä käytetyt valinnat ovat perusteltuja ja asianmukaisia. Olemme pyrkineet huomioimaan mallinukseen liittyvää epävarmuutta kattavilla herkkyyksianalyysillä.

#### ***Kokonaiselossaoloaika***

Fimea on omassa analyysissään olettanut potilaiden kuoleman riskin pysyvän samana yli tarkasteluajan, eli potilaan elinajan. Tämä oletus johtaa mahdollisesti KdD ja Kd -hoitojen kokonaiselinäikahyötyjen aliarviointiin. Pidämme uskottavampana, että keskimääräisen potilaan riski on taudin alkuvaiheessa suurempi ja vähenee ajan kuluessa. Tämä johtuu siitä, että vanhemmat ja muuten suuremman riskin potilaat kasvattavat keskimääräisen potilaan riskiä tarkasteluajan alkupuolella. Fimean valitsemasta menetelmästä poiketen olemme kokonaiselinajan mallinnuksessa ottaneet huomioon ajan mahdollisen vaikutuksen kuoleman riskiin.

Fimea toteaa, CANDOR-tutkimuksen seuranta-ajan olevan toistaiseksi lyhyt (mediaani 27,8 kuukautta), ja siksi kokonaiselinajan arviointiin liittyy epävarmuutta. Olemme pyrkineet hallitsemaan tätä epävarmuutta soveltamalla kokonaiselinajanarviointiin pidemmän seuranta-ajan tutkimustietoa käyttämällä perusteltuja ja asianmukaisia menetelmiä.

Tunnistamme elinajan mallinnukseen liittyvän epävarmuuden, mutta uskomme esittämiemme menetelmien ja sitä kautta analyysin olevan vaihtoehtoisia menetelmiä perustellummat ja tulosten täten luotettavimmat.

### **Yhteenveto**

Vaikka elinajan mallinnukseen liittyy tyypillistä epävarmuutta, tulokset osoittavat, että KdD käyttöönotto mahdollistaa terveyshyötyjä uusiutunutta tai refraktaarista multippeli myeloomaa sairastavilla potilailla, jotka ovat saaneet yhtä tai useampaa aiempaa hoitoa. KdD:n mahdollistama elinaikahyöty on havaittavissa sekä Fimean että myyntiluvan haltijan analyyseissa.

Arviointiraportin tuloksia tulkittaessa tulisi huomioida, että lääkehoitojen mahdollisia sopimuksia tai sairaala-alennuksia ei olla huomioitu. Kustannusvaikuttavuuteen ja budjettivaikutukseen liittyvät kysymykset ovat suurelta osin ratkaistavissa sopimus- ja hinnoittelumalleilla terveydenhuollon yksiköiden kanssa.

Amgen AB:n puolesta

Kirsi Saukkonen  
Senior Medical Advisor  
[kirsi.saukkonen@amgen.com](mailto:kirsi.saukkonen@amgen.com)

Susanne Bergius  
Value & Access Team Lead  
[susanne.bergius@amgen.com](mailto:susanne.bergius@amgen.com)