

Høydosebehandling med Autolog Stamcellestøtte (HMAS) = autolog-SCT.

Veletablert metode i malign hematologi/onkologi der benmargstoksistet er dosebegrensene – fra 1980 årene.

Meget effektiv ”immunoablativ” behandling -> potensiale for autoimmune sykdommer? (gener, miljø, uflaks)

Tobias Gedde-Dahl d.y.

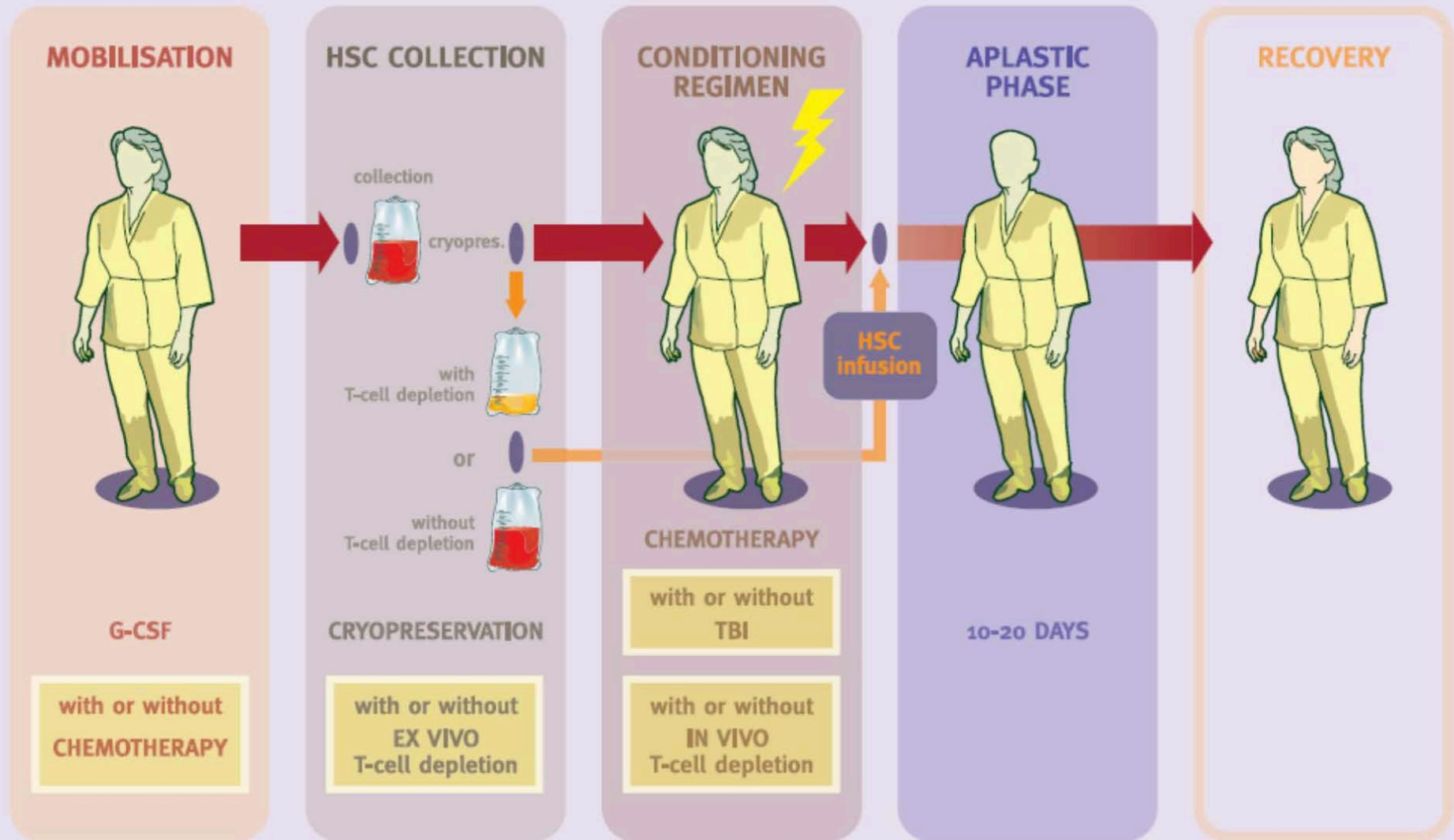
Seksjon for stamcelletransplantasjon

Avdeling for blodsykdommer

Oslo Universitetssykehus, Rikshospitalet

120517

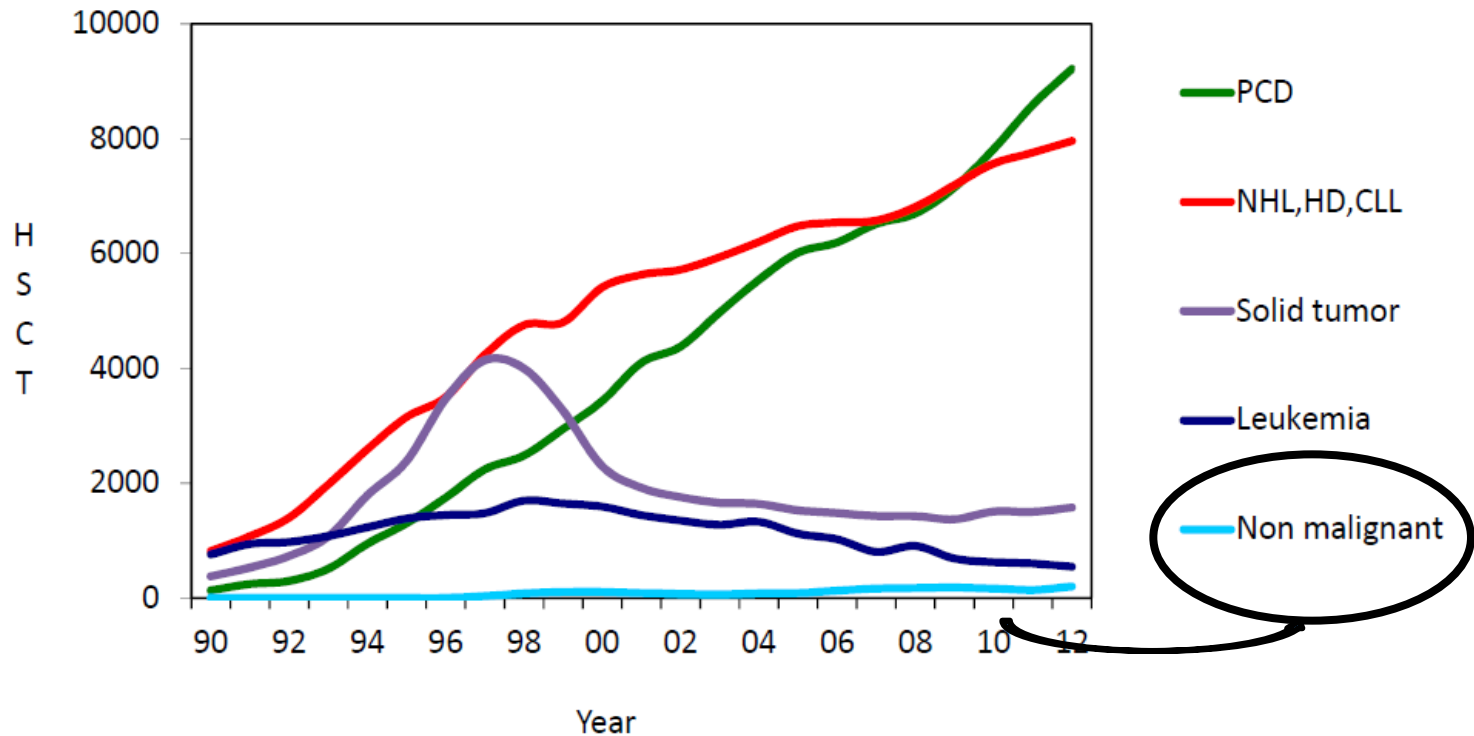
# AUTOLOGOUS HSCT FOR AUTOIMMUNE DISEASES



Eradikerer “autoimmun hukommelse”, nytt T- og B-cellerepertoire – neppe kurativt!

# HSCT Activity in Europe 1990-2012:

Main Indications: autologous





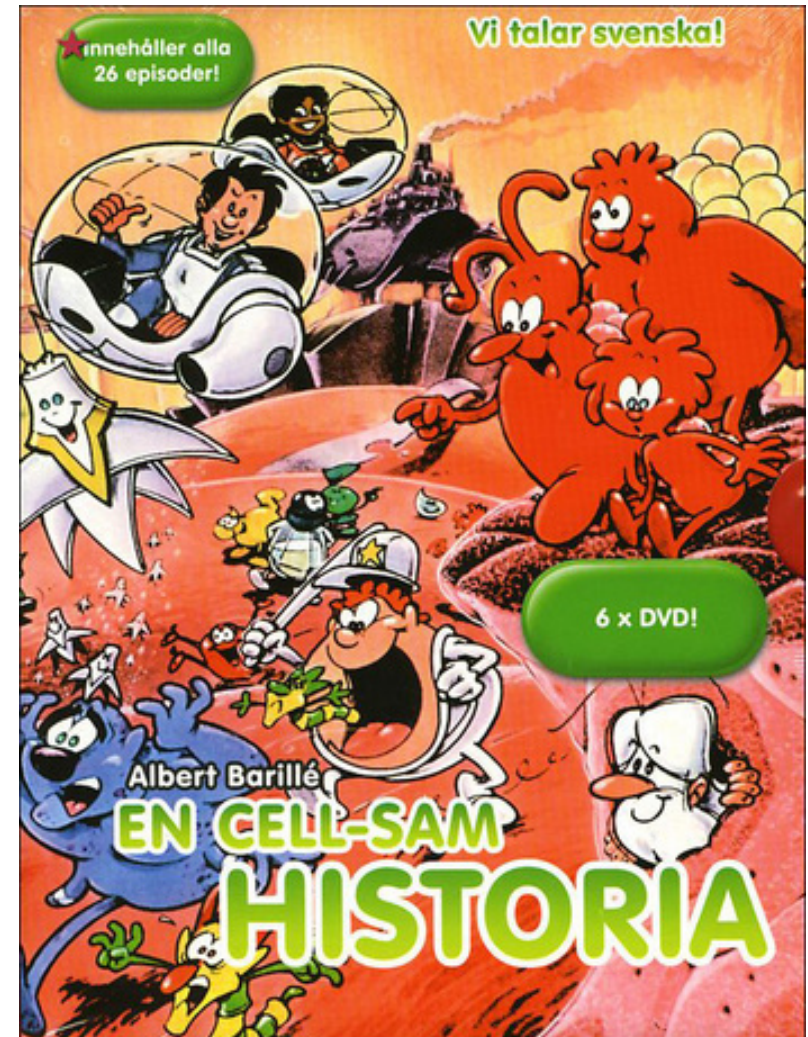
# ADWP - Number of HSCT: 2186

## EBMT Registry – July 2016

▶ <b>MULTIPLE SCLEROSIS</b>	<b>884</b>	▶ HAEMATOLOGICAL	102
▶ CONNECTIVE TISSUE	619	ITP	31
<b>SSc</b>	<b>455</b>	AIHA	25
SLE	114	Evans'	21
PM-DM	17	<i>Other</i>	25
Sjogren	3	▶ VASCULITIS	51
Antiphosph. Syndrome	5	Wegener's	14
<i>Other/Unknown</i>	25	Behcet's	9
▶ ARTHRITIS	182	Takayasu	2
Rheumatoid arthritis	81	Polyarteritis	4
Juvenile chronic arthritis :		Churg-Strauss	2
*Systemic JIA	57	<i>Other/Unknown</i>	20
*Other JIA	18	▶ OTHER NEUROLOGICAL	90
*Polyarticular JIA	16	NMO	23
Psoriatic arthritis	3	CIDP	34
<i>Other</i>	7	Myasthenia gravis	7
▶ INFLAMMATORY BOWEL	197	<i>Other/Unknown</i>	26
Crohn's disease	164	▶ INSULIN DEPENDENT DIABETES	20
Ulcerative colitis	4	▶ OTHER	41
<i>Other</i>	29		

Förlopp efter HSCT (første svenske MS pasient, auto-SCT 2004)

- Tioårskontroll
  - inga skov
  - inga tecken till sjukdom vid MR-undersökning
  - EDSS 1
  - arbetar heltid
  - trebarnsmor



## Status auto-SCT 2014, Sverige

Downloaded from [jnp.bmj.com](http://jnp.bmj.com) on March 24, 2014 - Published by [group.bmj.com](http://group.bmj.com)  
JNNP Online First, published on February 19, 2014 as 10.1136/jnnp-2013-307207  
Multiple sclerosis

RESEARCH PAPER

Autologous haematopoietic stem cell transplantation for aggressive multiple sclerosis: the Swedish experience

Joachim Burman,<sup>1,2</sup> Ellen Iacobaeus,<sup>3</sup> Anders Svenningsson,<sup>4</sup> Jan Lycke,<sup>5</sup> Martin Gunnarsson,<sup>6,7</sup> Petra Nilsson,<sup>8</sup> Magnus Vrethem,<sup>9,10</sup> Sten Fredrikson,<sup>11</sup> Claes Martin,<sup>12</sup> Anna Sandstedt,<sup>13</sup> Bertil Ugglå,<sup>7,14</sup> Stig Lenhoff,<sup>15</sup> Jan-Erik Johansson,<sup>16</sup> Cecilia Isaksson,<sup>17</sup> Hans Hägglund,<sup>18</sup> Kristina Carlson,<sup>18</sup> Jan Fagius<sup>1,2</sup>

- Burman J, et al.  
*J Neurol Neurosurg Psychiatry* 2014;0:1
- RK. Burt et al.  
*Opublicerade data, ca 150 patienter, 2014*
- 5-års relaps-, progressions- och sjukdomsfriöverlevnad:
  - 80-87%, 77-88% och 68%
  - Inga dödsfall, totalt ca 200 patienter

# ca 100 norske pasienter behandlet i utlandet (til 2014)

- 47 (25-66) år (jämför Sverige 31 år)
- Land
  - Ryssland (Moskva) 70%
  - Sverige 10%
  - Mexico 10%
  - Israel 5%
  - Italien 5%
- Kostnad (median)
  - 440 000 (250 000 – 1 150 000) Nkr

# Forts.

- Uppföljning
  - Fastlege, hematolog eller neurolog 70%
  - Transplantationscentra (ej i Norge) 12%
  - Nekade uppföljning 5%
  - Saknas kommentar 13%



2013 Nevrologene “samlet seg” – Nasjonalt MS senter v/HUS- nasjonal indikasjons konsensus.

Nasjonalt hematologisk konsensus om en protokoll, HUS ønsket nasjonal funksjon

Minimetode evaluering fra HUS, eller rett til full metodeevaluering?

HUS fikk aksept for å starte HMAS ved MS av fagdirektøren?

Full metodeevaluering 2015, Kunnskapssenteret  
(ingen RCT), mortalitet <2%, lav tillit til effektestimater  
Helseøkonomi

Beslutningsforum 2016: “Virksomheten tillates kun kontinuert i en randomisert studie”

Studieprotokollen skal etter planen ferdigstilles 120517

Utfordring; kontrollarmen ???

# Autolog hematopoietisk stamcelletransplantasjon ved multippel sklerose

Rapport fra Kunnskapssenteret nr 23-2015

Fullstendig metodevurdering

Godt kontrollerte studier som systematisk undersøker effekt og sikkerhet av autolog stamcelletransplantasjon sammenliknet med annen relevant behandling er nødvendig for å avklare nytten av denne behandlingen. En pågående randomisert kontrollert studie med 120 inkluderte pasienter og fem års oppfølgingstid er forventet å være ferdigstilt i 2021.

## dSSC og autolog – SCT: enklere – to RCT forelå

Burt RK et al Autologous non-myeloablative haematopoietic stem-cell transplantation compared with pulse cyclofosfamide once per month for systemic sclerosis (ASSIST): an open-label, randomized phase II trail, The Lancet 2011; 378(9790):498-506

Van Laar et al Autologous haematopoietic stem-cell transplantation vs intraveous pulse cyclofosfamide in diffuse cutaneous systemic sclerosis: a randomized clinical trial. JAMA 2014; 311 (24): 2490

Gunhild Stordalen ?

April 2015 Mini metodeevaluering OUS, basert på nasjonal revmatologisk konsensus.

Aksept fra fagdiretøren, inntil full metodeevaluering foreligger – høsten 2017?

Er fagmiljøene for sent “på banen”?

Er prosessen hensiktsmessig?

I begge eksempler foreligger det “europiske guidelines” for auto-SCT,