

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Elafibranor (Iqirvo®) til primær biliær cholangitis

Medicinrådet anbefaler ikke elafibranor i kombination med ursodeoxycholsyre til behandling af primær biliær cholangitis til patienter, som ikke har tilstrækkeligt respons ved ursodeoxycholsyre alene, eller som monoterapi til patienter, der ikke kan tåle ursodeoxycholsyre.

Om primær biliær cholangitis

Primær biliær cholangitis er en kronisk leversygdom, der udvikler sig langsomt. Sygdommen skader galdegangene i leveren, hvilket over en længere årrække kan medføre skrumpelever og leverkræft. Patienterne kan være kraftigt påvirket af hudkløe og træthed, også i sygdommens tidlige faser. Patienterne behandles i dag med lægemidlet bezafibrat i kombination med ursodeoxycholsyre. Patienter, som ikke kan behandles med bezafibrat, får ursodeoxycholsyre alene.

Fordele ved elafibranor

Kliniske studier viser, at elafibranor kan sænke forekomsten af et leverenzym, som er forhøjet ved sygdommen. Faldet kan ikke mærkes direkte af patienterne, men det kan være et tegn på, at patientens leverskader bremses, hvorved udviklingen mod alvorlig leversygdom forsinkes. Elafibranor virker cirka lige så godt på sænkning af leverenzymet som bezafibrat. Sammenlignet med ingen behandling har Medicinrådet estimeret, at elafibranor kan give en beskedent overlevelsesegevinst og dermed en sundhedsgevinst, hvis man antager, at faldet i leverenzymet er et tegn på, at sygdomsudviklingen forsinkes. Virksomheden ønsker ikke, at Medicinrådet offentliggør størrelsen på sundhedsgevinsten.

Ulemper ved elafibranor

Elafibranor er generelt veltolereret ved 1-2 års behandling. Enkelte patienter kan dog opleve bivirkninger, hvoraf få er alvorlige. Eventuelle ulemper ved flere års behandling er ikke undersøgt.

Omkostninger

Patienter forventes at være i behandling med elafibranor i en længere årrække. Ét års behandling med elafibranor koster ca. 430.000 kroner, hvilket er markant mere end den nuværende behandling med bezafibrat. Medicinrådet har estimeret, hvad et samlet behandlingsforløb vil koste i form af udgifter til lægemidlet og samlede meromkostninger for sundhedsvæsenet, men virksomheden ønsker ikke, at Medicinrådet offentliggør beløbene.

Usikkerheder

Det er ikke påvist, at elafibranor kan forebygge eller forsinke udviklingen af alvorlig leversygdom, og behandlingen hjælper ikke på træthed og kun lidt, hvis overhovedet, på kløe. Det er derfor meget usikkert, hvor stor effekt behandlingen har på patienternes levetid og livskvalitet. Lægemiddelmyndighederne har stillet krav om, at virksomheden skal dokumentere, at elafibranor kan forsinke udviklingen af alvorlig leversygdom i et nyt studie.

Samlet vurdering

Medicinrådet lægger vægt på, at elafibranor ikke er en bedre behandling end bezafibrat, men koster langt mere. Selvom elafibranor ser ud til at have en gavnlig effekt på patienternes sygdomsudvikling og muligvis også på kløegener, når man sammenligner med ingen behandling, er det meget usikkert, hvad det betyder for patienternes forventede levetid og livskvalitet. Da elafibranor er prissat urimeligt højt, står meromkostningerne ikke i et rimeligt forhold til den begrænsede og noget usikre sundhedsgevinst, som behandlingen kan give. Derfor anbefaler Medicinrådet ikke elafibranor som mulig standardbehandling.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Ipsen Pharma
Dosis og administrationsform	Elafibranor tages som tablet, 80 mg. dagligt.
Hvad kendetegner sygdommen?	Sygdommen er kronisk og udvikler sig over en lang årrække. Patientens immunforsvar nedbryder galdekanalerne i leveren, hvorved leveren langsomt ødelægges. Patienterne oplever træthed og kløe, som kan være invaliderende.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Sygdommen opdages typisk omkring 40-60 årsalderen. Ud af ca. 70 patienter som årligt får diagnosen, forventer Medicinrådet, at ca. 20 vil have utilstrækkelig gavn af ursodeoxycholsyre alene og dermed være egnede til elafibranor.
Hvad er den forventede prognose og livskvalitet?	Sygdomsudviklingen er ofte langsom, og patienter kan have forhøjede leverenzymmer i mange år, før sygdommen udvikler sig til mere alvorlige stadier. Har patienten først udviklet alvorlig leversygdom, er der stor risiko for død indenfor få år. Hudkløe og træthed kan påvirke patienterne kraftigt og forringe livskvaliteten både i de tidlige og sene sygdomsstadier.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Alle patienter behandles som standard med ursodeoxycholsyre resten af livet, hvis de kan tåle behandlingen. Patienter, der ikke opnår tilstrækkeligt sygdomskontrol inden for 6 måneder (ca. 30 % af patienterne), får også bezafibrat. Ca. 70 % af disse patienter opnår sygdomskontrol med bezafibrat i kombination med ursodeoxycholsyre.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	I vurderingen er elafibranor sammenlignet med ingen aktiv behandling og med bezafibrat. Sammenligningen med ingen behandling er baseret på et randomiseret, placebokontrolleret forsøg. Sammenligningen med bezafibrat er baseret på en indirekte sammenligning mellem to studier, hvor bezafibrat og elafibranor hver især er sammenlignet med placebo. Vurderingen af, om faldet i leverenzym kan føre til forlænget overlevelse og forbedret livskvalitet, bygger på andre undersøgelser.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	Overlevelsesgevinst: Ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed QALY-gevinst: Ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed
Hvad koster behandling med elafibranor?	Forhandlede priser (SAIP): Virksomheden har ikke tilbudt en rabat Listepris (AIP): Samlet pris for et behandlingsforløb er ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed. Et års behandling med elafibranor koster ca. 430.000 kroner.
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet ved elafibranor?	Forhandlede priser (SAIP): Virksomheden har ikke tilbudt en rabat Listepris (AIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed
Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?	Forhandlede priser (SAIP): Virksomheden har ikke tilbudt en rabat. Resultatet med SAIP kan ikke offentliggøres grundet fortrolige priser for andre lægemidler, der indgår i vurderingen. Listepris (AIP): 3.924.669 kroner pr. vundet QALY

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af lægemidlets effekt for patienterne og omkostningseffektivitet for sundhedsvæsenet, sammenlignet med den eksisterende behandling i det danske sundhedsvæsen. Medicinrådets vurderingsrapport for elafibranor til behandling af primær biliær cholangitis er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	3. september 2025	Godkendt af Medicinrådet.