

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Vorasidenib (Voranigo) til behandling af IDH1- eller IDH2-muteret astrocytom eller oligodendrogliom WHO-grad 2

Medicinrådet anbefaler vorasidenib til behandling af voksne og unge patienter fra 12 år med IDH1- eller IDH2-muteret astrocytom eller oligodendrogliom WHO-grad 2, som udelukkende har gennemgået kirurgisk behandling, og som ikke har behov for umiddelbar strålebehandling eller kemoterapi.

Medicinrådets begrundelse

Medicinrådet lægger vægt på, at vorasidenib kan forsinke sygdomsforværring væsentligt sammenlignet med aktiv observation (regelmæssige kontroller uden medicinsk behandling). Der er usikkerhed om effekten på overlevelse, fordi patienterne ikke er fulgt tilstrækkeligt længe i studiet. Omkostningerne til behandlingen er højere end den eksisterende behandling, men Medicinrådet vurderer, at omkostningerne er acceptable i forhold til behandlingens effekt. Medicinrådet har inddraget alvorlighedsprincippet i beslutningen, fordi sygdommen rammer relativt unge patienter og medfører betydelig sygdomsbyrde med påvirkning af funktionsevne og livskvalitet over mange år samt en væsentligt forkortet levetid. Derfor anbefaler Medicinrådet vorasidenib som mulig standardbehandling til patienter, der opfylder Medicinrådets start- og stopkriterier, som kan læses på Medicinrådets hjemmeside.

Om IDH1- eller IDH2-muteret astrocytom eller oligodendrogliom WHO-grad 2

Sygdommen er en type kræft i hjernen, der viser sig som langsomt voksende, uhelbredelige hjernetumorer, og som typisk rammer yngre patienter i 30-40-årsalderen. Sygdommen medfører symptomer som epileptiske anfald, kognitive vanskeligheder, hovedpine og træthed, som kan påvirke livskvaliteten betydeligt. Med den eksisterende behandling er restlevetiden for patienterne typisk ca. 12-14 år.

Fordele ved vorasidenib

Kliniske studier viser, at vorasidenib kan forsinke sygdomsforværring og dermed udsætte behovet for efterfølgende behandling, som kan være forbundet med varige påvirkninger af blandt andet kognitive funktioner og reduktion af livskvalitet. I en sundhedsøkonomisk analyse estimerer Medicinrådet, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på 1,8 kvalitetsjusterede leveår (QALY) og forlænge patienternes levetid med 2,0 år. Estimaterne bygger bl.a. på en antagelse om, at udskydelsen af sygdomsforværring medfører længere overlevelse.

Ulemper ved vorasidenib

Vorasidenib er forbundet med flere bivirkninger end den eksisterende behandling bestående af aktiv observation. For nogle patienter kan disse være alvorlige. Bivirkningerne omfatter bl.a. påvirkning af leveren, som oftest er håndterbare. Der er usikkerhed om de langsigtede bivirkninger, fordi opfølgningstiden er for kort til at belyse dem.

Omkostninger

Behandlingen med vorasidenib medfører udgifter til lægemidlet på ca. 6,7 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 5,3 år. Sammenlignet med den eksisterende behandling medfører vorasidenib meromkostninger på ca. 6,4 mio. kr. pr. patient. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig.

Usikkerheder

Der er usikkerhed om effekten på overlevelse, da den bygger på en antagelse om, at længere tid uden sygdomsforværring også medfører længere overlevelse. Dette er endnu ikke dokumenteret i studiet på grund af den korte opfølgningstid. Det er også usikkert, hvor længe behandlingen kan forsinke sygdomsforværring, og hvor længe patienterne skal behandles. Det skyldes, at patienterne i studiet først startede på behandlingen 2,5-2,9 år efter operation, mens vorasidenib forventes at blive givet tidligere i dansk klinisk praksis.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Les Laboratoires Servier (Servier Danmark A/S)
Hvordan gives behandlingen?	40 mg som tablet til oral indtagelse én gang dagligt.
Hvad kendetegner sygdommen?	Sygdommen er en langsomt voksende, uhelbredelig hjernetumor, der kan udvikle sig til mere aggressive former. Sygdommen kan medføre epileptiske anfald.
Hvilke patienter er egnede til behandling?	Voksne og unge patienter fra 12 år, som vejer mindst 40 kg, med IDH1- eller IDH2-muteret astrocytom eller oligodendrogliom WHO grad 2, som efter kirurgi alene ikke har behov for umiddelbar onkologisk behandling. Ca. 81 patienter vurderes aktuelt at være kandidater, og ca. 20 nye kandidater forventes årligt.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Patienterne lever typisk i 12-14 år med sygdommen. Inden sygdomsprogression lever mange patienter med relativt god funktionsevne og livskvalitet.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med kirurgi efterfulgt af aktiv observation, når der ikke er behov for umiddelbar strålebehandling og/eller kemoterapi.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på ét randomiseret, dobbeltblindet, placebokontrolleret studie (INDIGO). Vorasidenib er sammenlignet direkte med placebo, som svarer til aktiv observation i klinisk praksis.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	2,0 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i> 1,8 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet) <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er lægemiddeludgifterne til behandlingen?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 6,7 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 5,3 år. <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepriser (AIP): 6,4 mio. kr. <i>Estimeret merudgift pr. patient, hvis vorasidenib anvendes frem for aktiv observation. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepriser (AIP): 3,5 mio. kr. pr. QALY <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger pr. vundet QALY ved den nye behandling. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>

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 vurdering af vorasidenib til behandling af IDH1- eller IDH2-muteret astrocytom eller oligodendrogliom WHO-grad 2 er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	2. september 2026	Godkendt af Medicinrådet.