

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Daratumumab (Darzalex) i kombination med bortezomib, lenalidomid og dexamethason til patienter med nydiagnosticeret knoglemarvskræft

Medicinerådet anbefaler ikke daratumumab i kombination med bortezomib, lenalidomid og dexamethason (DarBorLenDex+DarLen) til behandling af patienter med nydiagnosticeret knoglemarvskræft, som er kandidater til autolog stamcelle-transplantation.

Om knoglemarvskræft

Knoglemarvskræft er en livsforkortende sygdom, som kan medføre knoglebrud, blodmangel og nedsat immunforsvar. Patienterne oplever træthed, smerter og øget infektionsrisiko, som påvirker livskvaliteten. Sygdommen kan ikke helbredes, men der findes behandlinger, som kan holde sygdommen i ro i længere tid.

Fordele ved daratumumab

Et klinisk studie viser, at daratumumab i tillæg til den eksisterende behandling kan forlænge den tid, hvor sygdommen holdes i ro, og at flere patienter opnår en længerevarende effekt af behandlingen. Der er på nuværende tidspunkt ikke påvist en forbedret overlevelse. Estimerne for sundhedsgevinst (målt i QALY) og levetidsgevinst fra den sundhedsøkonomiske analyse er meget usikre.

Ulemper ved daratumumab

Tillæg af daratumumab medfører flere bivirkninger, som kan kræve behandling, især lungebetændelse (pneumoni) og hjerterytmeforstyrrelser. De fleste alvorlige bivirkninger opstår under vedligeholdelsesbehandlingen.

Omkostninger

Patienter forventes i gennemsnit at være i behandling, inkl. vedligeholdelsesbehandling, i 7 år. Det svarer til udgifter til lægemidlet på ca. 3,3 mio. kr. Da den eksisterende behandling også har udgifter, bliver de samlede meromkostninger ca. 1,3 mio. kr. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortløbig, og de reelle omkostninger er derfor lavere.

Usikkerheder

Patienterne er fulgt i relativt kort tid, og data fra studiet kan ikke dokumentere, at patienterne lever længere end med den eksisterende behandling. Samtidig er det usikkert, hvordan de efterfølgende behandlinger påvirker overlevelsen, da det ikke er muligt at vurdere effekten af efterfølgende behandlinger i studiet.

Samlet vurdering

Medicinerådet vurderer, at DarBorLenDex+DarLen kan give længere tid uden sygdomsforværring, men lægger vægt på, at der ikke er påvist en effekt på overlevelse. Der er derfor betydelig usikkerhed om sundhedsgevinsten ved tillæg af daratumumab til standardbehandlingen, da den også afhænger af andre effektive behandlingsmuligheder, som patienterne kan modtage efterfølgende. Samtidig er der væsentlig usikkerhed om omkostningerne til efterfølgende behandlinger, og derfor også meromkostningerne forbundet med tillæg af daratumumab. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke DarBorLenDex+DarLen som mulig standardbehandling.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Johnson & Johnson
Hvordan gives behandlingen?	Daratumumab gives subkutant i kombination med bortezomib, lenalidomid og dexamethason som induktion og konsolidering. Herefter gives daratumumab og lenalidomid som vedligeholdelsesbehandling hver 4. uge. Behandlingen stoppes ved sygdomsforværring, uacceptable bivirkninger eller vedvarende MRD-negativitet i mindst 12 måneder. Virksomheden har afgrænset vedligeholdelsesbehandlingen til højst 24 måneder.
Hvad kendetegner sygdommen?	Knoglemarvskræft er en uhelbredelig og livsforkortende sygdom, som kan give knoglebrud, blodmangel og nedsat immunforsvar. Patienterne oplever træthed, smerter og øget infektionsrisiko, som påvirker livskvaliteten.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Patienter med nydiagnosticeret knoglemarvskræft, som er kandidater til autolog stamcelle-transplantation (HDT). Medianalderen ved diagnose er 72 år, men som udgangspunkt er det patienter under 70 år og uden betydende komorbiditet, som er kandidater til HDT. Ca. 120 patienter om året i Danmark forventes at være egnede til behandlingen.
Hvad er den forventede restlevetid/prognose og livskvalitet?	3-års overlevelsen med nuværende behandling er 86 %. Livskvaliteten er på niveau med den eksisterende behandling.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	BorLenDex som induktion og konsolidering, efterfulgt af vedligeholdelsesbehandling med lenalidomid.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	PERSEUS-studiet (RCT) med direkte sammenligning. Sundhedsøkonomisk analyse baseret på danske data og fremskrivning fra PERSEUS.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	1,0 ekstra leveår <i>Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i> 0,9 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet i én enhed). <i>Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad koster behandling?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 3,3 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 7 år <i>Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 1,3 mio. kr. <i>Estimeret merudgift per patient, hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 1,4 mio. kr. <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger per vundet QALY ved brug af det vurderede lægemiddel. Estimeret 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 daratumumab i kombination med bortezomib, lenalidomid og dexamethason til induktions- og konsoliderende behandling af patienter med nydiagnosticeret knoglemarvskræft, som er kandidater til autolog stamcelle-transplantation, efterfulgt af daratumumab og lenalidomid vedligeholdelsesbehandling, version 1.0* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	19. november 2025	Godkendt af Medicinrådet.