

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Birkebarkekstrakt (Filsuvez) til behandling af epidermolysis bullosa

Medicinerådet anbefaler ikke gel med birkebarkekstrakt til behandling af sår, der inddrager det yderste hudlag (epidermis) og eventuelt en del af læderhuden (dermis), forbundet med dystrofisk og junktional epidermolysis bullosa (EB) hos patienter, der er over 6 måneder gamle.

Om epidermolysis bullosa (EB)

Epidermolysis bullosa (EB) er en sjælden og alvorlig sygdom, hvor der let opstår blærer på huden og slimhinderne, som medfører smertefulde sår. De to mest alvorlige former, dystrofisk og junktional EB, kan give store problemer som stivhed i led, sammenvoksede fingre og alvorlige infektioner, der i værste fald kan være livstruende.

Fordele ved birkebarkekstrakt gel

Et studie viser, at birkebarkekstrakt gel kan få sår til at hele på cirka 38 dage, hvilket er en uge hurtigere end ved den nuværende behandling (cirka 45 dage). Det betyder også færre og mindre smertefulde forbindelsesskift, som ellers kan tage flere timer. Medicinerådet vurderer, at den forbedrede sårheling kan forbedre livskvaliteten for patienterne, men det er meget usikkert, hvor stor effekten på livskvaliteten er. Medicinerådet estimerer en sundhedsgevinst på 0,7 kvalitetsjusterede leveår (QALY) ved brug af birkebarkekstrakt.

Ulemper ved birkebarkekstrakt gel

Bivirkningsbyrden ser ud til at være sammenlignelig med den eksisterende sårplejende behandling.

Omkostninger

Patienter får løbende nye sår, der skal behandles, og forventes i gennemsnit at skulle modtage behandlingen i 11,5 år. Det medfører udgifter til lægemidlet på ca. 5 mio. kroner. Da der også er høje udgifter ved den eksisterende behandling, bliver de samlede meromkostninger for brug af birkebarkekstrakt i sundhedsvæsenet 4,3 mio. kroner per patient.

Tallene er baseret på den officielle listeprijs. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig, og de reelle omkostninger er derfor lavere.

Usikkerheder

Effekten på livskvalitet er usikker, da det ikke er undersøgt i studiet, men er estimeret ud fra udbredelsen af sår, og tager bl.a. ikke højde for placeringen af sår. Det er meget usikkert, om effekten på sårhelingen er stor nok til at reducere risikoen for alvorlige komplikationer eller medføre bedre livskvalitet for patienten. Det er også usikkert, hvor stort forbrug hver patient vil have af lægemidlet, bl.a. fordi det afhænger af antallet og størrelsen af sår, og hvor lang tid hvert sår skal behandles, før det heler.

Medicinerådets samlede vurdering

Medicinerådet anerkender at birkebarkekstrakt ser ud til at kunne give en lille fordel for nogle patienter i form af hurtigere ophealing af sår. Birkebarkekstrakt er meget dyrere end den eksisterende sårbehandling, og Medicinerådet vurderer, at meromkostningerne ikke er rimelige i forhold til sundhedsgevinsten. Omkostningsniveauet imødekommer dermed heller ikke i tilstrækkelig grad de usikkerheder, der er ved behandlingens effekt. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke birkebarkekstrakt som mulig standardbehandling til patientgruppen.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Chiesi Farmaceutici S.p.A
Dosis og administrationsform	Birkebarkgelen påføres i 1 mm tykkelse på sår og dækkes derefter med en steril forbindelse, som ikke klæber til huden.
Hvad kendetegner sygdommen?	Epidermolysis bullosa (EB) er en sjælden og alvorlig sygdom, hvor huden og slimhinderne let får smertefulde sår. Sygdommen kan give stivhed i led, sammenvoksede fingre og alvorlige infektioner, der i værste fald kan være livstruende.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Der vurderes at være ca. 50 patienter i Danmark som lige nu er i målgruppen for lægemidlet, og ca. 2 nye patienter om året. De fleste patienter er under ét år når de diagnosticeres, så nye patienter der sættes i behandling forventes på sigt at være ca. 6 måneder.
Hvad er den forventede restlevetid/ prognose og livskvalitet?	De fleste patienter har både kroniske og tilbagevendende sår, som kan blive betændte og føre til sepsis, hvilket især er dødeligt for nyfødte med alvorlige former af sygdommen. EB påvirker livskvaliteten betydeligt for både patienter og deres familier, der oplever smerter og nedsat funktion i daglige aktiviteter som badning, påklædning og spisning.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Der findes ingen helbredende behandling for EB. Behandlingen har derfor fokus på at behandle sårene og give daglig pleje. Til sårplejen bruges typisk forbindinger, der ikke klæber, samt salver og cremer mod infektion og betændelse.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Birkebarkekstrakt er sammenlignet med en kontrolgel i et randomiseret studie.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet	0 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i> 0,7 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet i én enhed.) <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i>
Hvad koster birkebarkekstrakt?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed Listepris (AIP): 5 mio. DKK for et typisk behandlingsforløb på 11,5 år <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet ved birkebarkekstrakt?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed Listepriser (AIP): 4,3 mio. DKK <i>Estimeret merudgift per patient hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i>
Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed Listepriser (AIP): 6,2 mio. DKK <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger per vundet QALY ved brug af det vurderede lægemiddel. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i>