

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Cabozantinib (Cabometyx) til behandling af inoperable eller metastatiske, veldifferentierede ekstra-pankreatiske og pankreatiske neuroendokrine tumorer

Medicinerådet anbefaler ikke cabozantinib til behandling af patienter med inoperable eller metastatiske, veldifferentierede ekstra-pankreatiske (epNET) og pankreatiske (pNET) neuroendokrine tumorer, som har haft sygdomsprogression efter 4. behandlingslinje (ekskl. patienter med lunge-NET) og efter 2. behandlingslinje for patienter med specifikt lunge-NET.

Medicinerådets begrundelse

Medicinerådet lægger vægt på, at cabozantinib kan forsinke forværring af sygdommen, men at det er usikkert, om der er en effekt på overlevelse. Omkostningerne til cabozantinib er højere end til den eksisterende behandling, og Medicinerådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable, når usikkerheden om effekten tages i betragtning. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke cabozantinib som mulig standardbehandling.

Om neuroendokrine tumorer

Neuroendokrine tumorer opstår oftest i bugspytkirtlen, lungerne og mave-tarm-kanalen. Sygdommen giver symptomer som mavesmerter, åndenød, træthed og vægttab, afhængigt af hvor i kroppen kræften er. Sygdommen rammer typisk personer i 50-årsalderen og opefter. Med den eksisterende behandling er den forventede restlevetid for patienterne typisk 2-5 år afhængigt af tumorens lokalisation og grad.

Fordele ved cabozantinib

Kliniske studier viser, at cabozantinib kan forsinke forværring af sygdommen hos patienter med epNET og pNET, men der er ikke påvist en længere overlevelse. I en sundhedsøkonomisk analyse estimerer Medicinerådet, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst i epNET- og pNET-gruppen på hhv. 0,7 og 0,2-0,9 kvalitetsjusterede leveår og forlænge patienternes levetid med 0,9 og 0,0-1,0 år. Estimaterne bygger bl.a. på en antagelse om, at cabozantinib kan forlænge overlevelsen, hvilket er usikkert, fordi det ikke er dokumenteret i studiet.

Ulemper ved cabozantinib

Cabozantinib giver bivirkninger, som for nogle patienter kan være alvorlige. Det kan bl.a. være forhøjet blodtryk, kvalme og mavesmerter.

Omkostninger

Behandlingen med cabozantinib medfører udgifter til lægemidlet på ca. 405.000 kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 9 mdr. for epNET-kohorten og 570.000 kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 13 mdr. for pNET-kohorten. Sammenlignet med den eksisterende behandling medfører cabozantinib meromkostninger på ca. 465.000 kr. pr. patient for patienter med epNET og 525.000-590.000 kr. for patienter med pNET. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortløbig. Der er også rabat på den eksisterende behandling, og de reelle meromkostninger er lavere.

Usikkerheder

Der er usikkerhed om effekten på samlet overlevelse. Det skyldes især, at der ikke er dokumenteret en effekt på overlevelse, og at resultaterne er påvirket af skift mellem behandlinger i studiet samt forskelle i efterfølgende behandling. Der er derudover usikkerhed om, hvorvidt resultaterne kan overføres til dansk klinisk praksis, fordi patienterne i studiet adskiller sig fra de patienter i Danmark, som ville skulle modtage behandlingen.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Ipsen
Hvordan gives behandlingen?	Den anbefalede dosis er 60 mg oralt én gang dagligt. Behandlingen bør fortsætte indtil sygdomsprogression eller uacceptabel toksicitet. Ved uacceptabel toksicitet eller alvorlige bivirkninger kan behandlingen dosisreduceres eller pauseres.
Hvad kendetegner sygdommen?	Sygdommen er uhelbredelig og kan give en lang række symptomer afhængigt af tumorlokation. Symptomerne kan være langvarige og medføre reduceret livskvalitet.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Patienterne er typisk over 50 år, og 30 patienter om året vurderes at være egnede til behandling.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Patienterne lever typisk mellem 2 og 5 år, afhængigt af tumorens lokalisation. Livskvaliteten er ofte påvirket af symptomer.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Der er ingen tilgængelig behandling i 4. linje for patienter med pNET og epNET (ekskl. lunge-NET). For patienter med lunge-NET er der ingen tilgængelig behandling i 2. linje ved SSTR-negativ sygdom, mens PRRT eller everolimus anvendes ved SSTR-positiv sygdom.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på en direkte sammenligning i CABINET, som er et randomiseret studie.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	0,9 ekstra leveår for patienter med epNET og 0,0-1,0 ekstra leveår for patienter med pNET. <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
	0,7 ekstra kvalitetsjusterede leveår for patienter med epNET og 0,2-0,9 ekstra kvalitetsjusterede leveår for patienter med pNET (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet) <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad koster behandlingen?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 405.000 kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 9 mdr. for epNET-kohorten og 570.000 kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 13 mdr. for pNET-kohorten. <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 465.000 kr. for patienter med epNET og 525.000-590.000 kr. for patienter med pNET. <i>Estimeret merudgift pr. 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): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 700.000 kr. for patienter med epNET og 660.000-3.600.000 kr. for patienter med pNET. <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 cabozantinib til behandling af inoperable eller metastatiske, veldifferentierede ekstra-pankreatiske (epNET) og pankreatiske (pNET) neuroendokrine tumorer* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	24. juni 2026	Godkendt af Medicinrådet.