

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Avapritinib (AYVAKYT) til behandling af indolent systemisk mastocytose

Medicinerådet anbefaler ikke avapritinib til behandling af voksne patienter med indolent systemisk mastocytose (ISM) med moderate til svære symptomer, som er utilstrækkeligt kontrolleret på symptomatisk behandling.

Medicinerådets begrundelse

Medicinerådet vurderer, at avapritinib kan lindre sygdommens symptomer sammenlignet med den eksisterende behandling, som består af symptombehandling. Dog er effekten for de fleste lille og mindre end det, der vurderes som klinisk relevant. Effekten af længerevarende behandling er usikker, og der er ikke dokumenteret en bedre livskvalitet af behandlingen. Avapritinib er dyrere end den eksisterende behandling, og Medicinerådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til behandlingens effekt. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke avapritinib som mulig standardbehandling.

Om systemisk mastocytose

Indolent systemisk mastocytose (ISM) er en sygdom med klonal ophobning af mastceller, som giver betydelige og varierende symptomer såsom anafylaksi, osteoporose, hududslæt og nældefeber, diarré og mavesmerter, samt bl.a. træthed og koncentrationsbesvær. Sygdommen er ikke livsforkortende, men den kan påvirke livskvaliteten i mange år.

Fordele ved avapritinib

Et klinisk studie viser, at avapritinib kan lindre sygdommens symptomer, dog uden at der kan påvises en forbedring i helbredsrelateret livskvalitet sammenlignet med den eksisterende behandling. Medicinerådet har ikke tilpasset virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse.

Ulemper ved avapritinib

Avapritinib kan give milde bivirkninger som hævelser i ansigtet, rødme og søvnforstyrrelser. Alvorlige bivirkninger er sjældne. Der er begrænset viden om bivirkningerne ved behandling i mere end 2-3 år.

Omkostninger

Ét års fuld behandling med avapritinib medfører udgifter til lægemidlet på ca. 2.570.000 kr. Patienter forventes at skulle være i behandling i flere år, da sygdommen er kronisk. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig, og de reelle omkostninger er derfor lavere. Medicinerådet har ikke tilpasset virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse.

Usikkerheder

Medicinerådet har ikke ændret i virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse, men vurderer, at virksomhedens analyse er baseret på flere udokumenterede antagelser, som primært medfører, at omkostningerne til avapritinib undervurderes. Det omfatter bl.a., at behandling med avapritinib giver væsentligt færre omkostninger til sygdomshåndtering, og at patienterne stopper behandlingen efter 5 år, hvilket er i strid med retningslinjen i lægemidlets dokumentation.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Blueprint Medicines
Hvordan gives behandlingen?	25 mg tablet én gang dagligt som monoterapi i tillæg til symptomatisk behandling. Behandlingen gives, indtil patienten får uacceptable bivirkninger eller indtil forekomst af mere fremskreden sygdomsform.
Hvad kendetegner sygdommen?	ISM er en sygdom med klonal ophobning af mastceller, som giver betydelige og varierende symptomer såsom anafylaksi, osteoporose, hududslæt og nældefeber, diarré og mavesmerter, samt bl.a. træthed og koncentrationsbesvær.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Voksne med moderate til svære symptomer, som ikke opnår tilstrækkelig lindring af eksisterende symptomatisk behandling. Det forventes, at 20–30 patienter vil være egnede i de første 1–2 år og herefter 1 patient årligt.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Sygdommen er ikke livsforkortende, men symptombyrden kan være betydelig i mange år.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Symptombehandling, herunder antihistaminer, protonpumpehæmmere, knoglebeskyttende behandling og omalizumab ved udtalte symptomer.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på ét randomiseret, placebokontrolleret studie (PIONEER del 2) og ét ukontrolleret forlængelsesstudie (PIONEER del 3).
Hvilken sundhedsgevinst estimerer analysen?	Mindre end 0,1 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse.</i>
	0,5 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet). <i>Estimatet er baseret på virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse.</i>
Hvad koster behandlingen?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 6.420.990 kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 2,65 år <i>Estimatet er baseret på virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepriser (AIP): 5.646.490 kr. <i>Estimeret merudgift pr. patient, hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimatet er baseret på virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse.</i>
Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepriser (AIP): 11.717.856 kr. <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger pr. vundet QALY ved den nye behandling. Estimatet er baseret på virksomhedens sundhedsøkonomiske 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 avapritinib til behandling af indolent systemisk mastocytose* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	25. marts 2026	Godkendt af Medicinrådet.