

# Medicinrådets anbefaling vedrørende berotralstat til forebyggende behandling af arveligt angioødem

## MEDICINRÅDET ANBEFALER

berotralstat som mulig forebyggende behandling af patienter med arveligt angioødem.

Arveligt angioødem giver uforudsigelige og alvorlige anfald af hævelser i hud og slimhinde, som kan reduceres ved forebyggende behandling med berotralstat. Berotralstat er dog ikke lige så effektivt til at nedbringe antallet af anfald som de nuværende forebyggende behandlinger, men kan være et alternativ til nogle patienter, fordi berotralstat har en anden virkningsmekanisme og gives som tabletter. De andre forebyggende behandlinger skal injiceres subkutant (i underhuden).

Berotralstat er billigere end de nuværende forebyggende behandlinger, medmindre det er muligt at dosisreducere lanadelumab (300 mg), så det administreres hver 4. uge i stedet for hver 2. uge.

Medicinrådet vurderer derfor samlet set, at omkostningerne er rimelige i forhold til effekten, og at det er en fordel for patienterne at have en alternativ behandlingsform tilgængelig.

Anbefalingen gælder patienter med væsentlig nedsat livskvalitet, der som udgangspunkt har minimum fire anfald om måneden.

## VÆRDI FOR PATIENTERNE

Medicinrådet vurderer, at berotralstat ser ud til at være dårligere end de lægemidler, man bruger i dag, da det vurderes mindre effektivt til at forebygge angioødemanfald og har lavere effekt på helbredsrelateret livskvalitet. Medicinrådet har i sin vurdering lagt vægt på, at målet med forebyggende behandling er, at patienterne bliver anfaldsfrie, at anfaldsfrekvensen falder, at der ikke er flere, som oplever bivirkninger, og at livskvaliteten forbedres. Berotralstat vurderes lige så sikkert som de lægemidler, man bruger i dag. Berotralstat administreres som tabletbehandling, hvilket er forskelligt fra de øvrige lægemidler, som injiceres subkutant. Dette kan være en fordel for nogle patienter.

Værdien af berotralstat kan ikke kategoriseres efter Medicinrådets metoder, når det sammenlignes med lanadelumab. Det betyder, at data ikke er gode nok til, at Medicinrådet kan udtale sig sikkert om lægemidlet.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af berotralstat med det lægemiddel eller den behandling, man bruger i dag, er meget lav. Det betyder, at nye studier med høj sandsynlighed kan ændre konklusionen.



## OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste ca. 3,5 mio. kr. mindre at behandle én patient med berotralstat end med den behandling, man bruger i dag over en tidshorizont på 5 år.

Medicinrådet har også vurderet, at regionerne årligt vil spare ca. 4,0 mio. kr. ved en evt. anbefaling.

Beløbene er baseret på de officielle listepreiser for lægemidlerne. Rådets beslutning er truffet på baggrund af priser på lægemidlerne, som Amgros har forhandlet med lægemiddelfirmaerne.

De forhandlede priser er fortrolige efter firmaernes ønske, og derfor må Medicinrådet ikke offentliggøre hverken de reelle priser eller omkostninger.

## ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effektestimaterne, hvilket er forskelligt alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt i denne sag.

## ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at regionerne kan vælge at bruge berotralstat til forebyggende behandling hos patienter med arveligt angioødem.

Medicinrådet vurderer dog, at berotralstat ikke er lige så effektivt til at nedbringe antallet af anfald som de forebyggende lægemidler til subkutan administration.

Berotralstat bør kun anvendes som selvstændig forebyggende behandling og ikke i tillæg til øvrige forebyggende behandlinger.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

### Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	23. marts 2022	Godkendt af Medicinrådet den 23. marts 2022

#### Om Medicinrådets anbefaling