

## MEDICINRÅDETS ANBEFALING

# Ciltacabtagene autoleucel (Carvykti) til behandling af patienter med recidiverende og refraktær knoglemarvskræft, som er refraktære overfor lenalidomid

Medicinerådet anbefaler ciltacabtagene autoleucel (cilta-cel) til patienter med recidiverende og refraktær knoglemarvskræft, som har fået mindst én tidligere behandling, herunder et immunmodulerende middel og en proteasomhæmmer, som har udvist sygdomsprogression under den sidste behandling og er refraktære overfor lenalidomid, og som har performance status 0-1. Anbefalingen gælder også patienter, som tidligere er behandlet med et BCMA-rettet lægemiddel (non-CAR-T), hvis det er mere end 6 mdr. siden, eller hvis der ikke var sygdomsprogression under BCMA-behandlingen.

Rådet ønsker at der indsamles data om effekt af behandlingen i Dansk Myelomatose Database og at effekten af sekventiel behandling belyses i forbindelse med udarbejdelse af behandlingsvejledningen for knoglemarvskræft.

### Om recidiverende og refraktær knoglemarvskræft

Knoglemarvskræft, der vender tilbage eller ikke reagerer på behandling, kaldes recidiverende eller refraktær. Der findes mange behandlingsmuligheder, som kan forlænge livet for patienterne, men sygdommen kan ikke helbredes. Patienterne kan ofte leve med sygdommen i flere år, men oplever træthed, smerter og øget infektionsrisiko, som påvirker livskvaliteten.

### Fordele ved cilta-cel

Kliniske studier viser, at cilta-cel kan forlænge overlevelsen og give en længere periode uden sygdomsforværring. Medicinerådet estimerer, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på 2,6-4,5 kvalitetsjusterede leveår (QALY) og forlænge levetiden med cirka 3 til 5 år. Cilta-cel kan som engangsbehandling give en længere pause fra behandling med forbedret livskvalitet og mindre kontakt med sundhedsvæsenet, i modsætning til nuværende behandlinger, som gives vedvarende og ofte medfører bivirkninger over længere tid.

### Ulemper ved cilta-cel

Behandling med cilta-cel kan give bivirkninger, som for nogle patienter kan være meget alvorlige. Der er set bivirkninger fra immunsystemet og nervesystemet, som kan give varige skader og i sjældne tilfælde være livstruende. Bivirkningerne er samlet set mere alvorlige end ved den nuværende behandling. Behandling med cilta-cel kræver desuden indlæggelse i ca. 16 dage.

### Omkostninger

Cilta-cel gives som en engangsbehandling, som koster 2,9 mio. kr. Da den eksisterende behandling også har udgifter, bliver de samlede meromkostninger ved behandling med cilta-cel ca. 1,0-1,4 mio. kr. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig, og de reelle omkostninger er derfor lavere.

### Usikkerheder

Patienterne i cilta-cel-studiet er fulgt i kort tid. Det gør det svært at vurdere, hvor meget cilta-cel kan forbedre patienternes overlevelse. Forskelle mellem studierne og den danske behandlingspraksis betyder desuden, at overlevelsesgevinsten ved cilta-cel kan være overestimeret.

### Samlet vurdering

Medicinerådet lægger vægt på, at cilta-cel sandsynligvis kan forlænge overlevelsen og give nogle en lang behandlingsfri periode. Selvom cilta-cel er dyrere end den eksisterende behandling, og der er usikkerhed om, hvor stor overlevelsesgevinsten reelt vil være, vurderer Medicinerådet, at meromkostningerne er acceptable i forhold til sundhedsgevinsten. Derfor anbefaler Medicinerådet cilta-cel som mulig standardbehandling. Da der er behov for at øge kapaciteten til behandling med cilta-cel, vil anbefalingen blive indført gradvist.

## NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

<b>Ansøgende virksomhed</b>	Johnson and Johnson
<b>Hvordan gives behandlingen?</b>	Cilta-cel gives som en engangsbehandling direkte i blodet. Behandlingen kræver indlæggelse i ca. 16 dage, efter medicinen er givet.
<b>Hvad kendetegner sygdommen?</b>	Patienter med knoglemarvskræft lever ofte flere år med sygdommen. Der findes mange behandlingsmuligheder, som kan forlænge livet, men sygdommen kan ikke helbredes.
<b>Hvilke patienter sættes i behandling?</b>	Patienterne er typisk ca. 60 år og med god helbredstilstand. Der forventes at være ca. 145 patienter om året, som er egnede til behandling med cilta-cel.
<b>Hvad er den forventede restlevetid/prognose og livskvalitet?</b>	Efter 3 år forventes ca. 60 % fortsat at være i live med den nuværende behandling. Patienterne oplever træthed, smerter og øget infektionsrisiko, som påvirker livskvaliteten.
<b>Hvilken behandling får patienterne i dag?</b>	Nuværende standardbehandling i 2. og 3. behandlingslinje er kombinationsbehandling med daratumumab, bortezomib og dexamethason; pomalidomid, bortezomib og dexamethason eller carfilzomib og dexamethason. Cilta-cel er allerede tilgængelig som behandling i 4. behandlingslinje.
<b>Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?</b>	Cilta-cel er sammenlignet direkte med lægens valg mellem daratumumab, pomalidomid og dexamethason eller pomalidomid, bortezomib og dexamethason i CARTITUDE-4. En indirekte sammenligning med carfilzomib og dexamethason indgår også i vurderingen. Livskvalitetsdata er fra den direkte sammenligning.
<b>Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?</b>	3-5 ekstra leveår. <i>Estimerne er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i> 2,6-4,5 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>
<b>Hvad koster behandling med cilta-cel?</b>	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed. Listepris (AIP): 2,9 mio. kr. for én behandling.
<b>Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet ved cilta-cel?</b>	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed. Listepriser (AIP): 1-1,4 mio. kr. <i>Estimeret merudgift per patient, hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
<b>Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?</b>	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed. Listepriser (AIP): 220.000-530.000 kr. pr. QALY <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger per vundet QALY ved brug af det vurderede lægemiddel. 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 vurderingsrapport for [lægemiddel] til behandling af [indikation] er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, [www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk).

## Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.1	24. juni 2026	Anbefalingen er specificeret ift. populationen med tilføjjelsen: <i>Anbefalingen gælder også patienter, som tidligere er behandlet med et BCMA-rettet lægemiddel (non-CAR-T), hvis det er mere end 6 mdr. siden, eller hvis der ikke var sygdomsprogression under BCMA-behandlingen. Rådet ønsker at der indsamles data om effekt af behandlingen i Dansk Myelomatose Database og at effekten af sekventiel behandling belyses i forbindelse med udarbejdelse af behandlingsvejledningen for knoglemarvskræft.</i>
1.0	24. september 2025	Godkendt af Medicinrådet.