

Medicinrådets anbefaling vedrørende gilteritinib til behandling af relaps eller refraktær akut myeloid leukæmi med FLT3-mutation

MEDICINRÅDET ANBEFALER

gilteritinib til patienter med akut myeloid leukæmi med FLT3-mutation, som har tilbagefald eller ikke har effekt af deres hidtidige behandling (relaps/refraktær sygdom). Anbefalingen gælder kun patienter, som kan være egnede til at gennemgå en stamcelletransplantation efter behandling med gilteritinib.

Medicinrådet vurderer, at gilteritinib sammenlignet med højdosis kemoterapi bringer flere patienter til stamcelletransplantation med mulighed for efterfølgende langtidsoverlevelse. Samtidig medfører gilteritinib ikke flere eller værre bivirkninger end højdosis kemoterapi.

Der er dog usikkerhed om effekten på overlevelsen efter stamcelletransplantation. Der er også usikkerhed om effekten af gilteritinib for patienter, som tidligere er blevet behandlet med andre FLT3-inhibitorer, fx midostaurin, som er dansk standardbehandling i 1. linje.

Behandling med gilteritinib er dyrere end den nuværende behandling med højdosis kemoterapi. Medicinrådet vurderer dog, at omkostningerne er rimelige i forhold til den forventede effekt.

MEDICINRÅDET ANBEFALER IKKE

gilteritinib til patienter med akut myeloid leukæmi med FLT3-mutation, som har tilbagefald eller ikke har effekt af deres hidtidige behandling (relaps/refraktær sygdom), og som ikke er egnede til at gennemgå en efterfølgende stamcelletransplantation.

Medicinrådet vurderer, at gilteritinib sammenlignet med lavdosis kemoterapi har en yderst begrænset effekt på overlevelsen. Effekten opvejer hos disse patienter ikke den øgede mængde bivirkninger, der samtidig forventes ved gilteritinib sammenlignet med lavdosis kemoterapi.



VÆRDI FOR PATIENTERNE

Gilteritinib til behandling af recidiverende eller refraktær akut myeloid leukæmi med FLT3-mutation har en lille merværdi sammenlignet med kemoterapi. Det betyder, at gilteritinib samlet set er lidt bedre end den behandling, man bruger i dag. Medicinrådet har lagt vægt på, at målet med behandling med gilteritinib er at forlænge livet. Dette gøres ved at bringe patienten i komplet remission, hvorved allogene stamcelletransplantation kan blive en mulighed, og dermed er der en efterfølgende mulighed for langtidsoverlevelse. Gilteritinib øger den mediane overlevelse med 3,7 måneder. Gilteritinib har vist at kunne bringe flere patienter i komplet remission efterfulgt af stamcelletransplantation, men der mangler evidens for, om gilteritinib øger langtidsoverlevelsen. Dette skyldes, at opfølgningstiden i studiet er for kort. Samtidig får patienterne lige så mange bivirkninger som ved højdosis kemoterapi som er en af de behandlinger, man bruger i dag. Sammenlignet med lavdosis kemoterapi har gilteritinib en yderst begrænset effekt på overlevelsen. Effekten opvejer hos disse patienter ikke den øgede mængde bivirkninger, der samtidig forventes ved gilteritinib sammenlignet med lavdosis kemoterapi.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af gilteritinib med den behandling, man bruger i dag, er lav. Det betyder, at nye studier med moderat sandsynlighed kan ændre konklusionen.

OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste ca. 826.000 kr. mere at behandle én patient med gilteritinib end med den behandling, man bruger i dag.

Medicinrådet har også vurderet, at regionerne vil skulle bruge ca. 7,4 mio. kr. mere i det femte år efter en 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 Medicinrådet råder regionerne til at bruge gilteritinib til patienter med recidiverende eller refraktær akut myeloid leukæmi med FLT3-mutation, men ikke nødvendigvis som førstevalg til alle patienter.



Versionslog

Version	Dato	Ændring
2.0	18. maj 2022	Anbefalingen er revurderet på baggrund af ny pris.
1.0	23. september 2020	Godkendt af Medicinrådet.

Medicinrådet

Dampfærgevej 21-23, 3. sal
2100 København Ø

+45 70 10 36 00
medicinraadet@medicinraadet.dk
www.medicinraadet.dk

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling er et klinisk og økonomisk baseret råd til regionerne til brug for deres beslutning om at anvende et givet lægemiddel. Anbefalingen bygger på en vurdering af, om omkostningerne vedrørende brug af lægemidlet er rimelige, når man sammenligner dem med lægemidlets værdi for patienterne. I vurderingen af værdien for patienterne indgår både lægemidlets gavnlige effekter og bivirkninger. I nogle tilfælde spiller sygdommens alvorlighed en særlig rolle i afvejningen af forholdet mellem omkostninger og værdi.

© **Medicinrådet, 2022**. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk. Format: pdf. Udgivet af Medicinrådet, den 19. maj 2022