

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Palopegteriparatid (Yorvipath) til behandling af voksne med kronisk hypoparathyroidisme

Medicinrådet anbefaler ikke palopegteriparatid til behandling af voksne med kronisk hypoparathyroidisme.

Medicinrådets begrundelse

Medicinrådet vurderer, at palopegteriparatid kan reducere behovet for kalk og aktivt D-vitamin, men for patienter, der er utilstrækkeligt kontrolleret med nuværende standardbehandling, er dokumentationen for symptomlindring og bedre livskvalitet usikker. Det skyldes, at det ikke udelukkende var denne patientgruppe, som indgik i det kliniske studie. Det er muligt, at palopegteriparatid kan give en vis sundhedsgevinst for den relevante patientgruppe i Danmark, men de estimerede sundhedsgevinster er behæftet med stor usikkerhed. Behandlingen er væsentligt dyrere end den nuværende behandling, og Medicinrådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til effekten, når usikkerhederne tages i betragtning. Derfor anbefaler Medicinrådet ikke palopegteriparatid som mulig standardbehandling.

Om kronisk hypoparathyroidisme

Kronisk hypoparathyroidisme er en sjælden sygdom, hvor kroppen danner for lidt af det hormon, der styrer kalkbalancen i blodet. Det kan give symptomer som prikken og stikken i huden, muskelkrampe og træthed. De fleste patienter behandles med kalk og aktivt D-vitamin, som normalt holder kalkniveauet stabilt og mindsker symptomerne. Hos nogle patienter er det svært at opnå tilstrækkelig kontrol med symptomerne, selvom de får den nuværende behandling.

Fordele ved palopegteriparatid

Et klinisk studie viser, at palopegteriparatid kan stabilisere kalkniveauet i blodet og reducere behovet for kalk og aktivt D-vitamin. Medicinrådet har i en sundhedsøkonomisk analyse estimeret, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på ca. 2,3 kvalitetsjusterede leveår (QALY). Estimatet bygger bl.a. på en antagelse om, at behandlingen livslangt giver en højere livskvalitet end den eksisterende behandling, hvilket er usikkert, da studiet ikke var designet til at sammenligne med nuværende behandling.

Ulemper ved palopegteriparatid

De fleste patienter oplever bivirkninger ved behandlingen, men de er typisk milde eller moderate og vurderes samlet set på niveau med den eksisterende behandling. Behandlingen kræver daglige injektioner og løbende dosisjustering, hvilket er til ulempe for patienterne.

Omkostninger

Behandlingen med palopegteriparatid medfører udgifter til lægemidlet på ca. 10,1 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 22 år. Sammenlignet med den eksisterende behandling medfører palopegteriparatid meromkostninger på ca. 8,9 mio. kr. pr. patient. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortløbig, og de reelle omkostninger er derfor lavere.

Usikkerheder

Der er betydelig usikkerhed om den reelle sundhedsgevinst ved palopegteriparatid sammenlignet med den eksisterende behandling i Danmark hos patienter, som er utilstrækkeligt kontrollerede med nuværende standardbehandling. Det skyldes bl.a., at det ikke var patienter, som var utilstrækkeligt kontrolleret, der udelukkende indgik i studiet, og patienterne blev fulgt i forholdsvis kort tid sammenlignet med den potentielle behandlingsvarighed.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Ascendis Pharma
Hvordan gives behandlingen?	Palopegteriparatid gives som indsprøjtning under huden én gang dagligt. Startdosis er 18 mikrogram, og dosis kan justeres hver uge.
Hvad kendetegner sygdommen?	Kronisk hypoparathyroidisme er en livslang sygdom, som kan give prikken og stikken i huden, muskelkramper og træthed.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Egnede patienter til behandlingen vil typisk være voksne og have forholdsvis svær hypoparathyroidisme. Det vurderes, at 10-15 % af patienterne med sygdommen kan være kandidater til behandling. Det svarer til ca. 20 nye patienter om året.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Patienterne lever typisk i mange år med sygdommen og vurderes at have samme overlevelse som baggrundsbefolkningen. Livskvaliteten er ofte påvirket af symptomer og behov for daglig medicin.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med tilskud af kalk og aktivt D-vitamin.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på PaTHway-studiet, som direkte sammenligner palopegteriparatid med placebo som tillæg til standardbehandlingen.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	0 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
	1,6 ekstra kvalitetsjusterede leveår (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): 10,1 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 22 år <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 8,9 mio. kr. <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): 3,9 mio. kr. <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 palopegteriparatid til behandling af voksne patienter med kronisk hypoparathyroidisme* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

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