

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Givinostat (Duvyzat) til behandling af Duchennes muskeldystrofi hos patienter fra 6 år

Medicinerådet anbefaler ikke givinostat til patienter med Duchennes muskeldystrofi og bevaret gangfunktion i alderen fra 6 år.

Medicinerådets begrundelse

Medicinerådet vurderer at der er tale om en alvorlig og sjælden sygdom, men at det ud fra de foreliggende data er usikkert, i hvilket omfang tillæg af givinostat forsinker sygdomsforværring sammenlignet med den eksisterende behandling med glukokortikoider. Der mangler data til at belyse betydningen for sygdommens udvikling på længere sigt. Behandlingen er meget dyr, og Medicinerådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til usikkerheden om behandlingens effekt. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke givinostat som mulig standardbehandling.

Om Duchennes muskeldystrofi

Duchennes muskeldystrofi er en arvelig muskelsygdom, som rammer børn, og typisk starter inden 5-årsalderen. Sygdommen medfører gradvist tab af muskelstyrke i alle kroppens muskler og medfører død i tidlig voksenalder. Symptomerne omfatter træthed, nedsat gangfunktion og senere vejrtræknings- og hjerteproblemer som alle påvirker patienternes livskvalitet.

Fordele ved givinostat

Det er muligt, at behandling med givinostat kan forsinke forværringen af gangfunktion, men det er usikkert, og det er uklart, i hvilken grad dette afspejler en samlet påvirkning af sygdomsprogressionen. Det er ikke dokumenteret, hvilken betydning givinostat har for sygdomsudviklingen på længere sigt. Estimerne for sundhedsgevinst (målt i QALY) og levetidsgevinst fra den sundhedsøkonomiske analyse er meget usikre.

Ulemper ved givinostat

Givinostat giver bivirkninger, men de er sjældent alvorlige. De mest almindelige er lavt antal blodplader (som kan påvirke blodets evne til at størkne) og forhøjet fedt i blodet samt mave-tarm-gener som diarré og opkastning.

Omkostninger

Medicinerådet har estimeret, hvad et behandlingsforløb vil koste i form af udgifter til lægemidler og samlede meromkostninger for sundhedsvæsenet, men virksomheden ønsker ikke, at Medicinerådet offentliggør estimerne. Anvendelse af givinostat er samlet set dyrere end den eksisterende behandling.

Usikkerheder

Der er usikkert, om givinostat har en effekt på sygdommens udvikling på længere sigt. Det skyldes, at det kliniske studie har fulgt et lille antal patienter i kort tid. Samtidig er den målte effekt på gangfunktion følsom over for, at der mangler data for nogle patienter i studiet.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Italfarmaco
Hvordan gives behandlingen?	Givinostat indtages som en væske gennem munden.
Hvad kendetegner sygdommen?	Duchennes muskeldystrofi er en alvorlig, arvelig, fremadskridende muskelsygdom, som medfører tiltagende muskelsvaghed, tab af gangfunktion og betydelig påvirkning af livskvalitet og tidlig død.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Sygdommen diagnosticeres typisk i 2-5 årsalderen. Omkring 5-7 patienter om året vurderes at være egnede til behandling.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Patienterne lever typisk ca. 30 år med sygdommen. Livskvaliteten påvirkes betydeligt af muskelsvaghed, tab af funktion og senere hjerte- og lungekomplikationer.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med glukokortikoider. Givinostat skal gives i tillæg til behandling med glukokortikoider.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på et randomiseret klinisk studie (EPIDYS) suppleret med et opfølgingsstudie (OLE) og indirekte sammenligninger med eksterne real-world data. Behandlingen er i EPIDYS sammenlignet direkte med placebo som tillæg til standardbehandling med glukokortikoider (72 uger), men opfølgningstiden er begrænset. Evidensen suppleres derfor med en indirekte sammenligning med en ekstern real-world-population (UK-RWD) for at belyse betydningen for senere sygdomsmilepæle.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	Medicinrådet har estimeret sundhedsgevinsten i form af kvalitetsjusterede leveår (QALY) og levetidsgevinst, men virksomheden ønsker ikke, at Medicinrådet offentliggør estimerne.
Hvad koster behandlingen?	Medicinrådet har estimeret, hvad et behandlingsforløb vil koste i form af udgifter til lægemidlet, men virksomheden ønsker ikke, at Medicinrådet offentliggør estimerne.
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Medicinrådet har estimeret de samlede meromkostninger for sundhedsvæsenet, men virksomheden ønsker ikke, at Medicinrådet offentliggør estimerne.
Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?	Medicinrådet har estimeret omkostningseffektiviteten ved givinostat, men virksomheden ønsker ikke, at Medicinrådet offentliggør estimatet.

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 givnostat til behandling af Duchennes muskeldystrofi hos ambulante patienter fra 6 år* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	24. juni 2026	Godkendt af Medicinrådet.