

## MEDICINRÅDETS ANBEFALING

# Ravulizumab (Ultomiris) til behandling af neuromyelitis optica spektrum sygdom

**Medicinerådet anbefaler ikke ravulizumab (Ultomiris) til behandling af voksne patienter med NMOsD, som er anti-aquaporin 4 (AQP4)-antistofpositive med expanded disability status scale (EDSS)-score  $\leq 7$ , som har oplevet et attack inden for de seneste 12 måneder, og som ikke har haft tilstrækkelig effekt af rituximab.**

### Medicinerådets begrundelse

Medicinerådet vurderer, at ravulizumab reducerer risikoen for sygdomsanfald (attack) og dermed forsinker sygdomsforværring sammenlignet med nuværende standardbehandling. Det forventes at kunne medføre en forbedring af patienternes livskvalitet og øge overlevelsen, men omfanget er usikkert. Behandlingen giver øget risiko for meningokokinfektioner. Behandlingen er væsentligt dyrere end den eksisterende behandling, og Medicinerådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke ravulizumab som mulig standardbehandling.

### Om neuromyelitis optica spektrum sygdom

Neuromyelitis optica spektrum sygdom er en kronisk betændelsestilstand i nervesystemet, som typisk rammer personer i 45-50-årsalderen. Sygdommen giver forkortet levetid og symptomer som synsproblemer, lammelser og tab af følesans, hvilket påvirker livskvaliteten betydeligt. Med den eksisterende behandling lever patienterne typisk, indtil de er ca. 65 år.

### Fordele ved ravulizumab

Et klinisk studie viser, at ravulizumab reducerer risikoen for attack, som er knyttet til sygdomsforværring. I studiet blev der ikke observeret attack blandt patienter behandlet med ravulizumab. I en sundhedsøkonomisk analyse estimerer Medicinerådet, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på 3 kvalitetsjusterede leveår og forlænge patienternes levetid med ca. 3 år. Estimaterne bygger bl.a. på en antagelse om, at reduktionen af risikoen for attack vil forbedre patienternes overlevelse og livskvalitet, men omfanget er usikkert.

### Ulemper ved ravulizumab

Ravulizumab giver bivirkninger, som for nogle patienter kan være alvorlige. Det gælder især en øget risiko for alvorlige infektioner med meningokoksygdom, også hos vaccinerede patienter.

### Omkostninger

Behandlingen med ravulizumab medfører udgifter til lægemidlet på ca. 18,9 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 17 år. Sammenlignet med den eksisterende behandling medfører ravulizumab meromkostninger på ca. 19,0 mio. kr. pr. patient. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortløbig. Der er også rabat på den eksisterende behandling, og de reelle meromkostninger er lavere.

### Usikkerheder

Der er usikkerhed om størrelsen af effekten i dansk klinisk praksis, fordi en del af patienterne i studiet, som ikke fik ravulizumab, fik en dårligere behandling end den, der gives i Danmark. Det er også usikkert, hvor meget reduktionen i attack forbedrer overlevelsen og livskvaliteten. Det er derfor uklart, hvor stor den reelle gevinst er i dansk klinisk praksis.

## NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

<b>Ansøgende virksomhed</b>	Alexion Pharma Nordics
<b>Hvordan gives behandlingen?</b>	Behandlingen gives intravenøst efter følgende: Doseringen er vægtbaseret med startdosis på 2.400 mg for $\geq 40$ til $< 60$ kg, 2.700 for $\geq 60$ til $< 100$ kg og 3.000 for $\geq 100$ kg på dag 1, efterfulgt af en vægtbaseret vedligeholdelsesdosis 3.000 mg for $\geq 40$ til $< 60$ kg, 3.300 for $\geq 60$ til $< 100$ kg og 3.600 for $\geq 100$ kg på dag 15 og derefter én gang hver 8. uge.
<b>Hvad kendetegner sygdommen?</b>	Sygdommen er en kronisk og livsforkortende sygdom, som giver nedsat livskvalitet og funktionstab, fx i form af lammelser og synstab.
<b>Hvilke patienter sættes i behandling?</b>	Patienterne er typisk 45-50 år, og 3-5 nye patienter om året vurderes at være egnede til behandling.
<b>Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?</b>	Patienterne lever typisk, indtil de er 65 år. Livskvaliteten er ofte påvirket af funktionstab og infektioner.
<b>Hvilken behandling modtager patienter i dag?</b>	Størstedelen af patienterne (med utilstrækkelig effekt af rituximab) modtager behandling med azathioprin eller mycophenolat mofetil.
<b>Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?</b>	Vurderingen bygger på et klinisk studie (CHAMPION NMOSD), hvor alle blev behandlet med ravulizumab. Der er ikke foretaget en direkte sammenligning med den behandling, der anvendes i Danmark. Vurderingen er baseret på en indirekte sammenligning med placebo-gruppen fra et andet klinisk studie (PREVENT), hvor størstedelen af patienterne fortsatte igangværende behandling med azathioprin, mycophenolat mofetil og/eller kortikosteroid, mens ca. en tredjedel ikke modtog behandling mod NMOSD.
<b>Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?</b>	3,0 ekstra leveår <i>Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i> 3,0 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet) <i>Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
<b>Hvad koster behandlingen?</b>	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 18,9 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 17 år <i>Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
<b>Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?</b>	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 19,0 mio. kr. <i>Estimeret merudgift pr. patient hvis den nye behandling anvendes frem for den nuværende behandling. Estimeret er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
<b>Hvad er omkostningseffektiviteten af lægemidlet (ICER)?</b>	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 6,3 mio. kr. <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger pr. vundet QALY ved den nye behandling. Estimeret 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 ravulizumab til behandling af neuromyelitis optica spektrum sygdom* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, [www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk).

## Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	29. april 2026	Godkendt af Medicinrådet.