

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Vamorolon (Agamree) til behandling af Duchennes muskeldystrofi hos patienter fra 4 år

Medicinrådet anbefaler ikke vamorolon til behandling af Duchennes muskeldystrofi hos patienter fra 4 år.

Medicinrådets begrundelse

Medicinrådet lægger vægt på, at det ud fra de foreliggende data er usikkert, om vamorolon er lige så effektiv til at forsinke sygdomsforværring som den eksisterende behandling med prednisolon eller deflazacort. Data viser, at vamorolon formentlig kan reducere væksthæmning, som er en kendt bivirkning ved den eksisterende behandling. Det er usikkert, hvor meget væksthæmning betyder for patienternes livskvalitet, da det ikke er målt i studiet, og de kliniske data for væksthæmning er også forbundet med usikkerhed. Behandlingen er væsentligt dyrere end den eksisterende behandling, og Medicinrådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable. Derfor anbefaler Medicinrådet ikke vamorolon 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. Symptomer som træthed, svigtende gangfunktion og senere vejtræknings- og hjerteproblemer påvirker livskvaliteten.

Fordele ved vamorolon

Kliniske studier peger på, at behandling med vamorolon er forbundet med en mere gunstig påvirkning af højde og vækst end prednisolon og deflazacort, og data indikerer, at vamorolon muligvis ikke medfører væksthæmning. Det er også muligt, at behandlingen i lidt mindre grad giver adfærdssændringer som bivirkning, men det er ikke dokumenteret i kliniske studier. I en sundhedsøkonomisk analyse estimerer Medicinrådet, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på 0,4-0,5 kvalitetsjusterede leveår (QALY). Det bygger på en antagelse om, at bivirkningerne ved vamorolon er mildere, hvilket antages at give en forbedret livskvalitet, og at effekten af vamorolon er på niveau med den eksisterende behandling.

Ulemper ved vamorolon

Behandling med vamorolon giver bivirkninger, som for nogle patienter kan være alvorlige. Det kan bl.a. være infektioner, problemer med fordøjelsen og psykiatriske symptomer. Disse bivirkninger ses også med nuværende standardbehandling.

Omkostninger

Behandlingen med vamorolon medfører udgifter til lægemidlet på ca. 4,3 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 22 år. Sammenlignet med den eksisterende behandling medfører vamorolon meromkostninger på ca. 3,7-4,2 mio. kr. pr. patient, afhængigt af valg af glukokortikoid. 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

Det er usikkert, om vamorolon er lige så effektivt til at udskyde sygdomsforværring som den eksisterende behandling, og på nogle effektmål ser vamorolon mindre effektivt ud. Usikkerheden skyldes, at studierne indeholder et lille antal patienter, kun omfatter børn op til syv år, og at der ikke er dokumentation for langtidseffekten. Gevinsten ved vamorolon bygger på en antagelse om mildere bivirkninger, hvis betydning er usikker på det foreliggende datagrundlag.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH
Hvordan gives behandlingen?	Oral suspension en gang dagligt (6 mg/kg for patienter < 40 kg; 240 mg én gang dagligt for patienter ≥ 40 kg). Dosis kan nedsættes til 4 mg/kg/dag eller 2 mg/kg/dag afhængigt af tolerabilitet.
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?	Patienterne diagnosticeres typisk i 2-5-årsalderen og starter behandling omkring 4-årsalderen. De fleste behandles med prednisolon eller deflazacort ved sygdomsstart. Der er ca. 160 patienter i Danmark.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Median overlevelse er omkring 30 år. Livskvaliteten påvirkes betydeligt af muskelsvaghed, tab af funktion og senere hjerte- og lungekomplikationer.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Standardbehandling er glukokortikoiderne prednisolon og deflazacort, som anvendes for at forsinke sygdomsprogressionen, bevare funktionsevnen og forbedre livskvaliteten.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Direkte sammenligning fra VISION-DMD (24 uger) mod prednisolon og indirekte MAIC-analyse mod prednisolon og deflazacort (VISION-DMD vs. FOR-DMD).
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	0,0 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
	0,4-0,5 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): 4,3 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 22 år i sammenligning mod prednisolon og deflazacort. <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske.
	Listepriser (AIP): 4,2 mio. kr. i sammenligningen mod prednisolon og 3,7 mio. kr. i sammenligningen mod deflazacort. <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): 9,5 mio. kr. i sammenligningen mod prednisolon og 7,9 mio. kr. i sammenligningen mod deflazacort. <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 vamorolon til behandling af Duchennes muskeldystrofi* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

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