

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Brexucabtagene autoleucel (Tecartus®) til behandling af akut lymfatisk leukæmi hos voksne

Medicinrådet anbefaler ikke brexucabtagene autoleucel til behandling af voksne patienter på 26 år og derover med recidiveret eller refraktært B-celleprækursor akut lymfatisk leukæmi (B-celle ALL).

Om B-celle akut lymfatisk leukæmi (B-celle ALL)

B-celle ALL er en aggressiv form for blodkræft, som giver mange symptomer, f.eks. feber, vægttab, nattesved, blødningstendens, træthed, smerter og hyppige infektioner. Voksne patienter, hvis sygdom vender tilbage efter behandling eller ikke reagerer på behandling, har en kort restlevetid på ca. 6-7 måneder. Patienter, som opnår god sygdomskontrol ved behandling, kan få en knoglemarvstransplantation, hvilket forbedrer overlevelsen, så ca. 40 % vil være i live fem år efter behandlingen.

Fordele ved brexu-cel

I et klinisk studie af brexu-cel var patienternes overlevelse længere end den forventede overlevelse ved behandling med kemoterapi. I den sundhedsøkonomiske analyse estimerer Medicinrådet, at brexu-cel kan forlænge overlevelsen med op til 3-4 år og give en samlet sundhedsgevinst på 2,5-3,3 kvalitetsjusterede leveår (QALY), sammenlignet med behandling med kemoterapi. Datagrundlaget for analysen er meget usikkert.

Ulemper ved brexu-cel

Behandling med brexu-cel kan give bivirkninger, som for nogle patienter kan være meget alvorlige. Der er set bivirkninger fra immunsystemet og nervesystemet, som kan give varige skader og i sjældne tilfælde være livstruende. Behandling med brexu-cel kræver indlæggelse i ca. 14 dage. De mest alvorlige bivirkninger ses, mens patienten er indlagt for at modtage behandlingen.

Omkostninger

Brexu-cel er en engangsbehandling, som koster 2,5 mio. kr. Sammenlignet med den eksisterende behandling medfører ibrugtagningen af brexu-cel en samlet meromkostning for sundhedsvæsenet på ca. 2,2 mio. kroner per patient. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er forholdsvis, og de reelle omkostninger er derfor lavere.

Usikkerheder

Det er meget usikkert, hvor stor overlevelsesgevinsten er for patienterne. Det skyldes, at vurderingen bygger på en sammenligning af patientgrupper fra forskellige studier med flere væsentlige forskelle. Blandt andet er den kemoterapi, som anvendes i dansk klinisk praksis, bedre end i studiet, og derfor kan forskellen mellem brexu-cel og kemoterapi i praksis være mindre. Der er ikke dokumentation for, at livskvaliteten forbedres med brexu-cel frem for kemoterapi.

Samlet vurdering

Medicinrådet vurderer, at brexu-cel kan forlænge patienternes liv sammenlignet med kemoterapi, men behandlingen ser ikke ud til at kunne kurere patienterne. Sammenligningsgrundlaget er meget usikkert, og den reelle gevinst ved brexu-cel kan være mindre end estimeret. Brexu-cel er meget dyrere end den eksisterende behandling, og Medicinrådet vurderer, at meromkostningerne ikke er rimelige i forhold til sundhedsgevinsten, særligt fordi der er betydelig usikkerhed om størrelsen af effekten. Derfor anbefaler

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Medicinrådet ikke brexu-cel som mulig standardbehandling. Medicinrådet opfordrer virksomheden til at vende tilbage med en lavere pris eller en bedre prisaftale.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Kite Pharma EU B.V.
Dosis og administrationsform	Brexu-cel gives som en engangsbehandling direkte i blodet. Behandlingen kræver indlæggelse i ca. 14 dage efter medicinen er givet.
Hvad kendetegner sygdommen?	Akut lymfatisk leukæmi (ALL) er en kræftsygdom i de hvide blodlegemer og knoglemarven, som typisk rammer børn (3–7 år) og voksne omkring 50-årsalderen. Symptomerne er typisk feber, vægttab, nattesved, blødningstendens, træthed, åndenød, svimmelhed, knogle- og ledsmerter samt hyppige infektioner. Voksne med B-celle ALL har en særligt dårlig prognose.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Brexu-cel er til patienter på 26 år og derover med B-celle ALL, hvor sygdommen er vendt tilbage efter behandling, eller som ikke har haft gavn af den behandling, de har fået (recidiveret eller refraktær sygdom). Der forventes at være ca. 3 patienter om året i Danmark.
Hvad er den forventede restlevetid/prognose og livskvalitet?	Prognosen for patienter, der har recidiverende/refraktær (R/R) sygdom, er dårlig med en median overlevelse på ca. 6-7 måneder. Patienter, der kan behandles med knoglemarvstransplantation, har potentielt længere overlevelse, og ca. 40 % disse er i live efter 5 år. Patienternes livskvalitet er begrænset af sygdommen.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med enten en kombination af kemoterapier (FLAG-IDA eller NOPHO High RISK blocks)
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Medicinerådet har vurderet brexu-cel ved at sammenligne resultater fra et studie uden kontrolgruppe (ZUMA-3), hvor patienter fik brexu-cel, med data fra kontrolarmen i et andet studie (INO-VATE), hvor patienter fik kemoterapi. Der er ikke justeret for forskelle mellem patienterne, og analysens resultater er derfor usikre.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinerådet?	Ca. 3 til 4 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i>
	Ca. 2,5 til 3,3 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet i én enhed.) <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i>
Hvad koster behandling med brexu-cel?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedens ønske om fortrolighed Listepris (AIP): 2,5 mio. kr. for én behandling
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet ved brexu-cel?	Forhandlede priser (SAIP): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed Listepriser (AIP): ca. 2,2 mio. kr. <i>Estimeret merudgift per 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): Ikke offentliggjort efter virksomhedernes ønske om fortrolighed Listepriser (AIP): mellem 660.000 og 890.000 kr. per QALY <i>Omkostningseffektiviteten (ICER) angiver de estimerede omkostninger per vundet QALY ved brug af det vurderede lægemiddel. Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse</i>

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

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 vurderingsrapport for brexucabtagene autoleucel til behandling af B-celle akut lymfatisk leukæmi er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	3. september 2025	Godkendt af Medicinrådet.