

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Pegcetacoplan (Aspaveli) til behandling af C3 glomerulopati og primær immunkompleks membranoproliferativ glomerulonefritis

Medicinerådet anbefaler ikke pegcetacoplan til behandling af voksne og unge (12-17 år) med C3 glomerulopati eller primær immunkompleks membranoproliferativ glomerulonefritis i kombination med en renin-angiotensin-system-hæmmer, medmindre behandling med RAS-hæmmer ikke tolereres eller er kontraindiceret.

Medicinerådets begrundelse

Medicinerådet lægger vægt på, at pegcetacoplan reducerer proteinudskillelsen i urinen, hvilket beskytter nyrerne og forventes at reducere behovet for dialyse og nyretransplantation, og derved kan forbedre patienternes livskvalitet og forlænge levetiden. Der er usikkerhed om effekten på risikoen for dialyse, transplantation og overlevelse, fordi det kliniske studie har fulgt patienterne i kort tid. Omkostningerne til pegcetacoplan er væsentligt højere end til den eksisterende behandling. Medicinerådet har inddraget alvorlighedsprincippet i beslutningen, fordi sygdommen debuterer hos unge patienter og medfører forkortet levetid og væsentligt forringet livskvalitet hos patienter, som ikke har andre effektive behandlingsmuligheder. Medicinerådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til behandlingens effekt. Derfor anbefaler Medicinerådet ikke pegcetacoplan som mulig standardbehandling.

Om C3 glomerulopati og primær immunkompleks membranoproliferativ glomerulonefritis

Glomerulopati og glomerulonefritis dækker over en række sjældne, kroniske nyresygdomme, som typisk rammer personer i alderen 5-30 år. Hos mere end halvdelen af patienterne medfører sygdommene nyresvigt inden for 5-10 år med behov for dialyse og nyretransplantation, som kan påvirke livskvaliteten betydeligt og forkorte levetiden. For patienter i fast dialyse er dødeligheden 15-20 % om året.

Fordele ved pegcetacoplan

Kliniske studier viser, at pegcetacoplan kan reducere proteinudskillelsen i urinen og dermed bremse sygdommen, hvilket forventes at kunne forbedre livskvaliteten og øge overlevelsen. I en sundhedsøkonomisk analyse estimerer Medicinerådet, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på 3,3 kvalitetsjusterede leveår (QALY) og forlænge patienternes levetid med 1,8 år. Estimaterne bygger bl.a. på antagelser om sammenhængen mellem reduktioner i protein i urinen og reduktioner i nyreskade og nyretransplantation, som er usikre.

Ulemper ved pegcetacoplan

De hyppigste bivirkninger er reaktioner ved indstiksstedet, fx rødme, hævelse og kløe samt feber. Disse er dog oftest milde. Da pegcetacoplan hæmmer immunsystemet, følger der en større risiko for infektioner, og særligt skal patienter være vaccineret mod kapselbærende bakterier som meningokok, Hib og pneumokok.

Omkostninger

Behandlingen medfører udgifter til lægemidlet på ca. 47 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på knap 34 år. Sammenlignet med den eksisterende behandling medfører pegcetacoplan meromkostninger på ca. 44 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 effekten på sygdommens udvikling på længere sigt. Det skyldes, at patienterne i det kliniske studie er fulgt i kort tid. Den sundhedsøkonomiske analyse bygger derfor på antagelser om at reduktion i proteinudskillelsen i urinen samt opbremsning i den faldende nyrefunktion på længere sigt resulterer i, at flere undgår nyresvigt og dermed dialyse, nyretransplantation og for tidlig død som følge heraf.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi)
Hvordan gives behandlingen?	Behandlingen gives under huden via pumpe to gange om ugen. Patienterne kan selvadministrere efter oplæring.
Hvad kendetegner sygdommen?	Sygdommene er sjældne og kroniske og medfører gradvis irreversibel skade på nyrerne. Selvom patienterne bliver nyretransplanterede, vil sygdommen også manifestere sig i den nye nyre. Cirka halvdelen af patienterne udvikler terminalt nyresvigt inden for 5-10 år med behov for dialyse og/eller nyretransplantation.
Hvilke patienter er egnede til behandling?	Sygdommen rammer typisk personer i alderen 5-30 år. Omkring 10 prævalente patienter og 2 nye patienter årligt forventes at være egnede til behandlingen.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Med den eksisterende behandling udvikler mere end halvdelen af patienterne terminalt nyresvigt inden for 5-10 år. For patienter i fast dialyse er dødeligheden ca. 20 % om året. Livskvaliteten bliver påvirket som følge af konsekvenser ved nedsat nyrefunktion og på længere sigt nyresvigt, dette omfatter bl.a. væskeophobning, træthed, forhøjet blodtryk og infektioner, særligt i de sene sygdomsstadier pga. dialyse og nyresvigt. Derudover bliver livskvaliteten også påvirket af langtidsbivirkninger ved anvendelsen af kortikosteroid og immundæmpende behandling.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles primært med RAS-hæmmere og SGLT-2-hæmmere, samt ved behov øvrig understøttende behandling med immunsuppressiva og kortikosteroider. Pegcetacoplan gives som udgangspunkt i tillæg til standardbehandlingen.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på et fase III, randomiseret, dobbeltblindet, placebokontrolleret studie (VALIANT). Pegcetacoplan i tillæg til standardbehandling er sammenlignet direkte med placebo i tillæg til standardbehandling.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	1,80 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
	3,26 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet) <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er lægemiddeludgifterne til behandlingen?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 47 mio. kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 33,6 år <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 43,6 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): 13,4 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 pegcetacoplan til behandling af C3 glomerulopati og primær immunkompleks membranoproliferativ glomerulonefritis er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	2. september 2026	Godkendt af Medicinrådet.