

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Mavacamten til behandling af voksne patienter med obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati

Medicinrådet anbefaler mavacamten til voksne patienter med obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati og med symptomer svarende til NYHA-klasse III, som vurderes ikke at være egnede til septal reduktionsterapi grundet anatomiske forhold, tekniske forhold eller betydende komorbiditeter.

Medicinrådets begrundelse

Medicinrådet lægger vægt på, at mavacamten kan forbedre patienternes symptomer og livskvalitet sammenlignet med den nuværende medicinske behandling med betablokkere eller calciumkanalblokkere (BB/CCB). Patientgruppen behandles i dag også med septal reduktionsterapi (SRT), som er invasive procedurer. Både mavacamten og SRT har bivirkninger eller risici, og det er usikkert, hvilken behandling der er mest effektiv. Omkostninger til mavacamten er højere end til den eksisterende behandling med SRT. Derfor vurderer Medicinrådet, at SRT fortsat skal være den primære behandling til patientgruppen. Til patienter med betydende symptomer svarende til NYHA-klasse III, der vurderes ikke at være egnede til SRT, vurderer Medicinrådet, at omkostninger til behandlingen er rimelige ift. effekten. Beslutning om behandling med mavacamten skal ske på en multidisciplinær konference, og behandling skal følge Medicinrådets start- og stopkriterier, som kan læses [her](#).

Om obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM)

oHCM er en hjertesygdom, hvor hjertemusklen er fortykket, og blodets vej ud af hjertet bliver forsnævret. Patienterne er typisk i 50-60-årsalderen, når symptomerne opstår. De mest almindelige symptomer er åndenød, brystmerter, træthed, hjertebanken og besvimelse, som påvirker livskvaliteten. Med moderne behandling har patienter en forventet levetid lidt kortere end normalbefolkningen, idet sygdommen er forbundet med en øget risiko for hjertekomplikationer.

Fordele ved mavacamten

Kliniske studier viser, at mavacamten kan forbedre patienternes symptomer og livskvalitet og udskyde eller reducere behovet for SRT. Mavacamten er en medicinsk behandling og kan derfor være et alternativ til SRT, som i sjældne tilfælde kan medføre komplikationer. I en sundhedsøkonomisk analyse estimerer Medicinrådet, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på 0,4 kvalitetsjusterede leveår (QALY) og forlænge patienternes levetid med 0,3 år. Sammenlignet med SRT estimerer Medicinrådet ikke en sundhedsgevinst.

Ulemper ved mavacamten

Mavacamten kan påvirke hjertets pumpeevne og behandlingen kræver derfor løbende kontroller af hjertet på hospitalet. Behandlingen skal tages vedvarende, mens SRT som regel er et engangsindgreb.

Omkostninger

Behandlingen med mavacamten medfører udgifter til lægemidlet på ca. 1.000.000 kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på ca. 8,5 år. Sammenlignet med den eksisterende behandling med BB/CBB eller SRT medfører mavacamten meromkostninger på hhv. ca. 1.000.000 kr. og 900.000 kr. pr. patient. Omkostningerne er baseret på offentlige listepreiser. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig.

Usikkerheder

Der er usikkerhed om den estimerede effekt på overlevelse og om sammenligningen med SRT. Det skyldes, at effekten på overlevelse endnu ikke er dokumenteret i kliniske studier, og at dokumentationen for SRT er baseret på studier, der har flere afgørende forskelle.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Bristol Meyer Squibb
Hvordan gives behandlingen?	Kapsel én gang dagligt (2,5 mg, 5 mg, 10 mg eller 15 mg).
Hvad kendetegner sygdommen?	Sygdommen er karakteriseret ved fortykkelse af venstre hjertekammer og ved oHCM en forsnævring i venstre hjertekammers udløbsdel. Typiske symptomer er åndenød, brystmerter, træthed, hjertebanken og besvimelse, som kan påvirke livskvaliteten.
Hvilke patienter er egnede til behandling?	Patienterne er typisk i 50-60-årsalderen, når symptomerne opstår. Medicinrådet har vurderet at der bør være betydelige symptomer svarende til NYHA-klasse III før behandling opstartes.
Hvad er den forventede restlevetid og livskvalitet?	Med moderne behandling har patienter en forventet levetid lidt kortere end normalbefolkningens. Livskvaliteten er nedsat og påvirkes af symptomer og nedsat funktionsniveau.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Patienterne behandles med betablokkere eller calciumkanalblokkere. Ved vedvarende symptomer og høj LVOT-gradient kan et hjerteindgreb med septal reduktionsterapi overvejes.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	Vurderingen bygger på to placebokontrollerede fase III-studier, EXPLORER-HCM og VALOR-HCM, hvor mavacamten er sammenlignet direkte med placebo som tillæg til baggrundsbehandling med betablokkere eller calciumkanalblokkere. Sammenligningen med septal reduktionsterapi er indirekte og baseret på observationelle studier for septal reduktionsterapi.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	0,4 ekstra leveår <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i> Sammenlignet med SRT estimerer Medicinrådet ikke en sundhedsgevinst. 0,3 ekstra kvalitetsjusterede leveår (QALY, et mål for sundhedsgevinst, der kombinerer levetid og livskvalitet) <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i> Sammenlignet med SRT estimerer Medicinrådet ikke en sundhedsgevinst.
Hvad er lægemiddeludgifterne til behandlingen?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): ca. 1.000.000 kr. for et gennemsnitligt behandlingsforløb på 8,5 år <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): ca. 900.000-1.000.000 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): 2.600.000 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 mavacamten til behandling af symptomatisk obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
2.0	2. september 2026	Revurdering pba. nye data og ny pris.
1.0	20. marts 2024	Godkendt af Medicinrådet.