

MEDICINRÅDETS ANBEFALING

Natriumthiosulfat til forebyggelse af ototoksicitet ved cisplatinbehandling hos børn og unge

Medicinerådet anbefaler ikke natriumthiosulfat til forebyggelse af høretab forårsaget af cisplatin kemoterapi hos børn og unge med lokaliserede solide tumorer.

Om høretab ved behandling med cisplatin

Cisplatin er en type kemoterapi, som bruges til behandling af kræft hos børn og unge. Behandlingen kan give høretab, og undersøgelser viser, at op mod 60 % oplever dette. Høretab kan påvirke livskvaliteten, men i Danmark bliver hørelsen tjekket under behandlingen, og behandlingen bliver ændret, hvis der er tegn på høretab. Derfor er høretabet ofte mildt, og i de fleste tilfælde er der ikke behov for høreapparat eller implantater.

Fordele ved natriumthiosulfat

Kliniske studier viser, at natriumthiosulfat kan halvere risikoen for høretab under behandling med cisplatin. Det betyder, at færre børn kan få høretab, og at livskvaliteten kan blive bedre. Medicinerådet estimerer, at behandlingen kan give en sundhedsgevinst på 0,5-0,7 kvalitetsjusterede leveår (QALY). Der er dog usikkerhed om, hvor stor gevinsten reelt vil være, fordi den er beregnet ud fra udenlandske data, som ikke nødvendigvis passer til danske forhold.

Ulemper ved natriumthiosulfat

De mest almindelige bivirkninger er kvalme og opkast. Nogle patienter kan også få feber og lavt antal hvide blodlegemer, men det ses også ved behandling med cisplatin alene. For at natriumthiosulfat virker bedst og ikke forstyrrer effekten af cisplatin, skal det gives præcis 6 timer efter cisplatin. Det kan være en praktisk udfordring.

Omkostninger

Natriumthiosulfat gives, så længe patienten modtager behandling med cisplatin. Varigheden af behandlingen afhænger af kræfttypen, men er typisk op til et år. Det medfører udgifter til lægemidlet på ca. 990.000 kr. pr. patient. Omkostningerne er baseret på den offentlige listeprijs. Der er forhandlet en rabat, som efter virksomhedens ønske er fortrolig, og de reelle omkostninger er derfor lavere.

Usikkerheder

I Danmark tilpasses behandlingen med cisplatin ved tegn på høretab, fx ved at sænke dosis eller skifte til et andet lægemiddel (carboplatin). Derfor udvikler de fleste patienter kun mildt høretab, og effekten af natriumthiosulfat vurderes at være mindre end den, der ses i studierne. Derudover er der usikkerhed om, hvor meget et høretab påvirker livskvaliteten, fordi der mangler evidens, som afspejler danske forhold.

Samlet vurdering

Medicinerådet vurderer, at natriumthiosulfat kan reducere risikoen for høretab, men at sundhedsgevinsten vil være begrænset og behæftet med betydelig usikkerhed. Effekten på høretab og livskvalitet vurderes at være begrænset, bl.a. fordi behandlingen med cisplatin i Danmark allerede tilpasses ved tegn på høretab. Da behandlingen er væsentligt dyrere end den eksisterende behandling, vurderer Medicinerådet, at omkostningerne ikke er rimelige i forhold til sundhedsgevinsten. Derfor anbefales natriumthiosulfat ikke som mulig standardbehandling.

NØGLEOPLYSNINGER OM VURDERINGEN

Ansøgende virksomhed	Norgine
Hvordan gives behandlingen?	Natriumthiosulfat gives som en infusion præcist 6 timer efter cisplatin. Behandlingen gives, så længe patienten er i behandling med cisplatin.
Hvad kendetegner sygdommen?	Behandling med cisplatin kan give varigt høretab hos børn og unge med kræft. Høretabet kan påvirke livskvaliteten, men er ofte mildt og kræver sjældent høreapparat.
Hvilke patienter sættes i behandling?	Børn og unge under 18 år med lokaliseret kræft, som får cisplatin. Ca. 22 patienter om året forventes at være egnede til behandlingen.
Hvad er den forventede prognose og livskvalitet?	Høretab ved cisplatinbehandling kan ikke forebygges, men opdages typisk tidligt gennem rutinemæssig høretest. Behandlingen tilpasses ved tegn på høretab, og hvis høretabet ikke kan afbødes, kan patienterne få høreapparat eller anden lydforstærkende teknologi.
Hvilken behandling modtager patienter i dag?	Ved tegn på høretab kan dosis af cisplatin justeres eller der skiftes til carboplatin.
Hvilke studier og analyser ligger til grund for vurderingen?	To ublindede fase 3-studier (SIOPEL-6 og COG ACCL0431). Begge studier sammenlignede behandling med natriumthiosulfat efter cisplatin med cisplatin alene hos børn og unge med solide tumorer.
Hvilken sundhedsgevinst estimerer Medicinrådet?	Det er ingen levetidsgevinst ved behandlingen. 0,5 - 0,7 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?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedens ønske. Listepris (AIP): 990.000 kroner for et gennemsnitligt behandlingsforløb på op til et år. <i>Estimatet er baseret på en sundhedsøkonomisk analyse.</i>
Hvad er meromkostningerne for sundhedsvæsenet?	Forhandlede priser (SAIP): Fortroligt efter virksomhedernes ønske. Listepriser (AIP): 970.000 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 virksomhedens ønske. Listepriser (AIP): 1,4 - 1,8 mio. kr. pr. 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>

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 natriumthiosulfat til forebyggelse af ototoksicitet forårsaget af cisplatin kemoterapi* er tilgængelig på Medicinrådets hjemmeside, www.medicinraadet.dk.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	29. oktober 2025	Godkendt af Medicinrådet.