

Medicinrådets anbefaling vedrørende patisiran til arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2

MEDICINRÅDET ANBEFALER

patisiran til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

Medicinrådet anbefaler patisiran, fordi det samlet set har stor merværdi. Det betyder, at det er meget bedre for patienterne end ingen behandling. Samtidig vil sundhedsvæsenets omkostninger til lægemidlet være rimelige i forhold til effekten af behandlingen.

Kriterier for opstart og seponering kan læses på Medicinrådets hjemmeside sammen med anbefalingen.

VÆRDI FOR PATIENTERNE

Patisiran til arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2 har en stor merværdi sammenlignet med placebo. Det betyder, at patisiran samlet set er meget bedre for patienterne end ingen behandling.

Medicinrådet har lagt vægt på, at målene med behandling med patisiran er at standse eller forsinke sygdomsprogression, således at livskvaliteten forbedres, og at livet forlænges. Det vurderede data for effekten af patisiran viser, at behandling med patisiran kan standse sygdomsprogressionen hos patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2. Effekten ses på alle parametre, der er målt inden for neurologisk funktion, handicapgrad, gangfunktion og livskvalitet. Bivirkningsprofilen er håndterbar og giver ikke anledning til øget behandlingsophør.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af patisiran med placebo i dag, er moderat. Det betyder, at nye studier med lav sandsynlighed vil ændre konklusionen.



OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Opgjort i listepreiser vil det koste ca. 20 mio. kr. mere at behandle én patient med patisiran end med ingen behandling. De årlige budgetkonsekvenser for sundhedsvæsenet i det 5. år være ca. 22 mio. kr. ved ibrugtagning af lægemidlet. Lægemedelfirmaet har dog givet en fortrolig rabat, og derfor er de reelle tal lavere.

ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt effektestimaterne tillægges, hvilket vil være forskelligt, alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt i denne sag.

ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til at bruge patisiran til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2, men ikke nødvendigvis som førstevalg til alle patienter.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

Om Medicinrådets anbefaling