

Medicinrådets anbefaling vedrørende human alfa-1-antitrypsin som mulig standardbehandling til patienter med alvorlig alfa-1-antitrypsinmangel

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** human alfa-1-antitrypsin som mulig standardbehandling til alvorlig alfa-1-antitrypsinmangel. Medicinrådet vurderer, at der er et rimeligt forhold mellem lægemidlets værdi og omkostningerne ved behandlingen.

Anbefalingen gælder for patienter, som opfylder følgende kriterier:

- Progredierende emfysem*
- Genotype PiZZ
- FEV1 35-70 % af forventet
- Dokumenteret rygeophør minimum seks måneder før behandlingsstart

*Progredierende emfysem betragtes som påvist, når CT-skanning har dokumenteret emfysem med samtidig nedsat lungefunktion (FEV1 35-70 %).

Behandling forudsætter årlig revurdering. Behandlingen seponeres, hvis patienten:

- får en lungetransplantation.
- vurderes terminal og fortsat behandling derfor skønnes udsigtsløs eller for krævende for patienten.
- ønsker afslutning.
- genoptager rygning. Dette kan kontrolleres ved kulitemåling forud for hver injektion for patienter, som behandles på hospital. For patienter, som selv administrerer behandling i hjemmet, kan cotininmåling hver 6. måned anvendes.
- ikke vurderes at have tilstrækkelig effekt af behandlingen. Tab af lungedensitet på mere end 30 g/L indenfor 10 års behandling bør medføre behandlingsophør.

Medicinrådet anbefaler, at regionerne anvender det af de tilgængelige præparater, der er billigst.

Medicinrådet opfordrer Dansk Lungemedicinsk Selskab til at iværksætte indsamling af langtidsdata vedrørende effekten af behandlingen.

Sygdom og behandling

Alvorlig alfa-1-antitrypsinmangel (A1AT-mangel) er en arvelig tilstand. Patienter med alvorlig A1AT-mangel er i risiko for at udvikle emfysem i lungerne, særligt hvis de er eller har været rygere. Emfysemet forværres over tid og medfører tiltagende nedsat lungefunktion og forkortet levetid hos patienterne. Patienterne modtager typisk behandling svarende til retningslinjer for kronisk obstruktiv lungelidelse (KOL) og kan med tiden få behov for konstant iltbehandling, lungevolumenreducerende kirurgi eller lungetransplantation. Der fødes cirka 40 børn med alvorlig A1AT-mangel om året i Danmark. Kun få af dem vil udvikle sygdom. Der vurderes aktuelt at være cirka 80 patienter, som er kandidater til behandling med human A1AT og cirka 10 nye patienter vurderes at tilkomme hvert år.

Om lægemidlet

Human alfa-1-antitrypsin udvundet fra humant plasma gives for at øge plasmakoncentrationen af alfa-1-antitrypsin hos patienter med svær alfa-1-antitrypsinmangel og tegn på progredierende emfysem. Behandlingen gives med henblik på at forhale udviklingen af emfysem. Lægemidlet gives som vedligeholdelsesbehandling og dosis er 60 mg/kg legemsvægt én gang ugentligt ved intravenøs infusion.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at behandling med human A1AT samlet set har en **merværdi af ukendt størrelse** sammenlignet med placebo. Evidensens kvalitet er **moderat**. Vurderingen er baseret på en dokumenteret reduktion i tab af lungedensitet. Der er ikke påvist en effekt af behandlingen på patientrelevante effektmål, så som livskvalitet, gangtest og lungefunktion indenfor opfølgningstiden i studierne, hvorfor den kliniske betydning af lægemidlets effekt er usikker. Flere observationsstudier har dog vist en signifikant korrelation mellem tab af lungedensitet og effektmålene FEV1/FVC, diffusionskapacitet (D_{LCO}), livskvalitet målt ved SGRQ, eksacerbationsrate og dødelighed.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til lægemidlets værdi

På baggrund af tilbudspriserne på human alfa-1-antitrypsin finder Medicinrådet, at behandling med alfa-1-antitrypsin er forbundet med høje meromkostninger sammenlignet med den nuværende standardbehandling. De inkrementelle omkostninger er næsten udelukkende drevet af lægemiddelprisen på human alfa-1-antitrypsin kombineret med behandlingsvarigheden.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har ikke fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed eller forsigtighed i anbefalingen.

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der foreligger ingen behandlingsvejledning fra Medicinrådet for behandling af alvorlig A1AT-mangel.

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver værdi for patienterne i forhold til eksisterende behandling samt en vurdering af omkostningerne ved at anvende medicinen. Regionernes indkøbsorganisation Amgro indgår aftale om en pris for medicinen med den ansøgende virksomhed. På den baggrund vurderer Medicinrådet, om medicinens værdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Godkendelsesdato	23. april 2020
Ikrafttrædelsesdato	23. april 2020
Dokumentnummer	75233
Versionsnummer	1.1

© Medicinrådet, 2020. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

www.medicinraadet.dk

Sprog: dansk

Format: pdf