

Medicinrådets anbefaling vedrørende fostamatinib til behandling af kronisk immun trombocytopeni

MEDICINRÅDET ANBEFALER

Fostamatinib til patienter med blodsygdommen kronisk immun trombocytopeni. Sygdommen medfører, at antallet af blodplader hos patienterne falder til så lavt et niveau, at der opstår risiko for blødninger. Anbefalingen gælder patienter, som ikke har haft effekt af de behandlinger, der anvendes i 1. og 2. linje.

Fostamatinib ser ud til at øge blodpladetallet for en lille gruppe patienter, som derfor kan have gavn af behandlingen. Medicinrådet vurderer, at omkostningerne til behandlingen er rimelige for denne effekt.

Behandlingen bør stoppes, hvis patientens blodpladetal ikke stiger indenfor de første 8 uger af behandlingen, samtidig med at patientens blødningstendens vurderes reduceret. Behandlingen bør også stoppe, hvis blodpladetallet på et senere tidspunkt falder, eller patientens blødningstendens vurderes at være i stigning.

VÆRDI FOR PATIENTERNE

Fostamatinib til behandling af kronisk immun trombocytopeni kan ikke kategoriseres sammenlignet med placebo. Medicinrådet vurderer, at fostamatinib, på linje med de nuværende behandlinger i 3. linje, kan være effektivt for en lille gruppe patienter. Medicinrådet har lagt vægt på, at målene med behandling med fostamatinib er at forhindre blødninger og stabilisere trombocytallet. Fordi [REDACTED] i behandling med fostamatinib og [REDACTED] i behandling med placebo har et blodpladetal på $\geq 30 \times 10^9/L$, hvilket giver en forskel på [REDACTED] til fostamatinibs fordel. Der er flere bivirkninger forbundet med behandlingen med fostamatinib sammenlignet med placebo. På det nuværende datagrundlag kan det ikke vises, at fostamatinib forbedrer patienternes livskvalitet.

Der var ikke tilstrækkeligt data til at sammenligne fostamatinib med den behandling, der bruges som standard i 3. linje.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af fostamatinib med det lægemiddel eller den behandling, man bruger i dag, er meget lav. Det betyder, at nye studier med høj sandsynlighed kan ændre konklusionen.

OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste mellem 229.000 og 1,9 mio. kr. mere at behandle én patient med fostamatinib end med den behandling, man bruger i dag,



Medicinrådet har også vurderet, at regionerne vil skulle bruge mellem 45.000 og 2,83 mio. kr. mere i det femte år efter en evt. anbefaling.

Beløbene er baseret på de officielle listepreiser for lægemidlerne. Rådets beslutning er truffet på baggrund af priser på lægemidlerne, som Amgros har forhandlet med lægemiddelfirmaerne.

De forhandlede priser er fortrolige efter firmaernes ønske, og derfor må Medicinrådet ikke offentliggøre hverken de reelle priser eller omkostninger.

ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effektestimaterne, hvilket er 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 fostamatinib til patienter med kronisk immun trombocytopeni, som ikke responderer på behandlingerne i 1. og 2. linje, men ikke nødvendigvis som førstevalg til alle patienter.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	20. december 2022	Godkendt af Medicinrådet.

Om Medicinrådets anbefaling