

Medicinrådets anbefaling vedrørende pegvaliase til behandling af fenylketonuri

MEDICINRÅDET ANBEFALER IKKE

pegvaliase til patienter fra 16 år med fenylketonuri.

Medicinrådet anbefaler ikke pegvaliase, fordi

- data ikke er gode nok til, at Medicinrådet kan udtale sig sikkert om lægemidlet. Pegvaliase ser ud til at være en bedre behandling end den behandling, man anvender i dag, men der er også væsentlige bivirkninger. Medicinrådet finder, at prisen er for høj set i forhold til usikkerheden om den dokumenterede effekt.

VÆRDI FOR PATIENTERNE

Datagrundlaget er for usikkert til at værdien af pegvaliase kan kategoriseres efter Medicinrådets metode, når der sammenlignes med den nuværende behandling (restriktiv diæt eller semifri diæt i kombination med LNAA). Pegvaliase sænker fenylalaninkoncentrationen i blodet og fjerner derved årsagen til patienternes symptomer, herunder reducerede neuropsykiatriske og eksekutive funktioner, der påvirker patienternes muligheder for et normalt liv.

Medicinrådet har lagt vægt på, at der også er væsentlige bivirkninger forbundet med behandling med pegvaliase, og at kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af pegvaliase med 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 ved livslang behandling vil koste ca. 10,3 mio. kr. mere at behandle én patient med pegvaliase end med restriktiv diæt.

Medicinrådet har vurderet, at det ved livslang behandling vil koste ca. 13,5 mio. kr. mere at behandle én patient med pegvaliase end med semifri diæt i kombination med LNAA.

Medicinrådet har også vurderet, at regionerne vil skulle bruge 18,1 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. Det har ikke været inddraget i denne sag.

ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til ikke at bruge pegvaliasse til patienter ≥ 16 år med fenylyketonuri

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.1	3. maj 2021	En sætning om førstevalg er slettet i afsnittet anbefalingen betyder, da indsat ved fejl.
1.0	28. april 2021	Godkendt af Medicinrådet.

Om Medicinrådets anbefaling