

Medicinrådets anbefaling vedrørende velmanase alfa som mulig standardbehandling til alfa-mannosidose

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler ikke** velmanase alfa som mulig standardbehandling til behandling af ikkeneurologiske manifestationer hos patienter med mild til moderat alfa-mannosidose.

Sygdom og behandling

Alfa-mannosidose er en sjælden medfødt sygdom (ca. en pr. 500.000 fødsler). I Danmark kendes aktuelt til få patienter som har sygdommen i mild til moderat grad og derfor kandiderer til behandling med velmanase alfa. Alfa-mannosidose skyldes nedsat α -mannosidaseaktivitet. Svigt i enzymfunktionen medfører gradvis ophobning af glykoproteiner, hvilket fører til celleskader og -død, og forårsager fysiske og mentale skader (udviklingshæmning).

Der er til dato ingen tilgængelig medicinsk behandling af alfa-mannosidose. Patienterne tilbydes "best supportive care" med det formål at øge livskvaliteten samt symptomlindre. Den tværfaglige indsats vil variere med hensyn til funktionsbillede, almindelig helbredstilstand samt alder. Målet vil være at støtte og fremme barnets/den unges udvikling og funktion samt at give omgivelserne indsigt i og viden om handicapet, så de kan støtte bedst muligt.

Om lægemidlet

Velmanase alfa er en rekombinant form af humant alfa-mannosidase udviklet som erstatning for og supplement til det naturlige alfa-mannosidaseenzym. Aminosyresekvensen for det monomere protein er identisk med det naturligt forekommende humane enzym, alfa-mannosidase. Velmanase alfa er godkendt til behandling af ikkeneurologiske manifestationer, da lægemidlet ikke forventes at blive optaget i centralnervesystemet og derved ikke har effekt på patienternes mentale retardering. Anbefalede dosis er 1 mg/kg legemsvægt, administreret en gang ugentligt intravenøst. Behandling er i udgangspunktet livsvarig.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, på baggrund af de foreliggende data, at velmanase alfa giver

- **ingen klinisk merværdi** til patienter med mild til moderat alfa-mannosidose i sammenligning med placebo. Evidensens kvalitet vurderes at være **lav**.

Det er ikke muligt, på baggrund af den tilgængelige evidens, at foretage en aldersdifferentieret vurdering af klinisk merværdi af velmanase alfa.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Medicinrådet finder, at der ikke er nogen klinisk merværdi i forhold til placebo, hvorfor velmanase alfa ikke kan anbefales som mulig standardbehandling.

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 RADS eller Medicinrådet på området.

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver merværdi for patienterne i forhold til eksisterende behandling samt en vurdering af omkostningerne ved at anvende medicinen.

Regionernes indkøbsorganisation Amgros indgår aftale om en pris for medicinen med ansøgeren. På baggrund af den forhandlede pris vurderer Medicinrådet, om medicinens merværdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Anbefaling til mulig standardbehandling betyder, at medicinen bliver et alment tilbud til en patientgruppe, og at medicinen er tilgængelig på sygehusene.