

# Medicinrådets anbefaling vedrørende osilodrostat til behandling af Cushings syndrom

## MEDICINRÅDET ANBEFALER

Osilodrostat til behandling af Cushings syndrom hos patienter, hvor fjernelse af den hormonproducerende tumor ikke har været mulig, og hvor behandling med ketoconazol eller metyrapon ikke har givet den ønskede effekt.

Behandling med osilodrostat kan muligvis medføre, at flere patienter får et normalt kortisolniveau, end hvis de behandles med pasireotid, ketoconazol og metyrapon, som er de nuværende standardbehandlinger.

Datagrundlaget for vurderingen af osilodrostats effekt og bivirkninger er samlet set meget usikkert, da osilodrostat ikke er sammenlignet direkte med de lægemidler, der er standardbehandling i dag. Det er derfor ikke muligt med sikkerhed at vurdere, om osilodrostat er en lige så god eller bedre behandling end den nuværende standardbehandling. Det er heller ikke muligt at vurdere, om der er forskel på de bivirkninger, der kan opstå ved behandling med osilodrostat og behandling med ketoconazol og metyrapon. Behandling med pasireotid er forbundet med en øget risiko for udvikling af type 2-diabetes.

Osilodrostat er væsentligt dyrere end metyrapon og ketoconazol. Medicinrådet anbefaler derfor, at regionerne kun anvender osilodrostat til patienter, som ikke har effekt af metyrapon eller ketoconazol, eller som oplever uacceptable bivirkninger ved de to behandlinger.

## VÆRDI FOR PATIENTERNE

Osilodrostat til Cushings syndrom kan ikke kategoriseres sammenlignet med komparator. Det betyder, at data ikke er gode nok til, at Medicinrådet kan udtale sig sikkert om lægemidlet. Medicinrådet vurderer dog, at osilodrostat ser ud til at være bedre end de lægemidler, man bruger i dag. Det er ikke muligt at vurdere, om der er forskelle i bivirkninger mellem behandling med osilodrostat og hhv. ketoconazol og metyrapon. Medicinrådet vurderer, at osilodrostat sammenlignet med pasireotid har en mere skånsom bivirkningsprofil, da risikoen for at udvikle type 2-diabetes er mindre blandt patienter, der modtager osilodrostat. Medicinrådet har lagt vægt på, at målene med behandling med osilodrostat er normalisering af kortisolniveauet, og at 68,5 % af patienterne behandlet med osilodrostat fik normaliseret deres kortisolniveau sammenlignet med 48,5 %, 43 % og 30 % behandlet med hhv. ketoconazol, metyrapon og pasireotid.

Data for pasireotid og osilodrostat peger i retning af, at begge behandlinger øger livskvaliteten, men fagudvalget kan på det nuværende datagrundlag ikke vurdere, om der er en klinisk relevant forskel mellem behandlingerne.



Der er ikke data for livskvalitet for behandling med ketoconazol og metyrapon, og effekten kan derfor ikke vurderes.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af osilodrostat 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 ca. 1.689.000 kr. mere pr. patient sammenlignet med ketoconazol, ca. 1.680.000 kr. mere pr. patient sammenlignet med metyrapon og ca. 1.614.000 kr. mere pr. patient sammenlignet med pasireotid at behandle én patient med osilodrostat.

Medicinrådet har også vurderet, at regionerne vil skulle bruge 3,5 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 osilodrostat til patienter med Cushings syndrom, men ikke nødvendigvis som førstevalg til alle patienter.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

### Versionslog

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

Medicinrådet  
Dampfærgevej 21-23, 3. sal.  
2100 København Ø  
  
+45 70 10 36 00  
medicinraadet@medicinraadet.dk  
www.medicinraadet.dk

#### Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling er et klinisk og økonomisk baseret råd til regionerne til brug for deres beslutning om at anvende et givet lægemiddel. Anbefalingen bygger på en vurdering af, om omkostningerne vedrørende brug af lægemidlet er rimelige, når man sammenligner dem med lægemidlets værdi for patienterne. I vurderingen af værdien for patienterne indgår både lægemidlets gavnlige effekter og bivirkninger. I nogle tilfælde spiller sygdommens alvorlighed en særlig rolle i afvejningen af forholdet mellem omkostninger og værdi.  
© Medicinrådet, 2022. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.  
Sprog: dansk. Format: pdf. Udgivet af Medicinrådet, den 15. december 2022.