

Medicinrådets anbefaling vedrørende Holoclar som mulig standardbehandling til voksne patienter med moderat til alvorlig limbal stamcellemangel forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** Holoclar som mulig standardbehandling til moderat til alvorlig limbal stamcellemangel (LSCD) forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger til følgende patienter:

- Patienter med en overfladisk læsion uden funktionelt syn på begge øjne.
- Patienter med en dyb stromal læsion uden funktionelt syn på begge øjne (med en efterfølgende hornhindetransplantation).

Behandling med Holoclar (og evt. efterfølgende hornhindetransplantation) er hos disse patienter forbundet med betydelige meromkostninger sammenlignet med standard understøttende behandling, der står i et acceptabelt forhold med den kliniske merværdi (stor).

Medicinrådet **anbefaler ikke** Holoclar som mulig standardbehandling til moderat til alvorlig LSCD forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger til følgende patienter:

- Patienter med en overfladisk læsion med funktionelt syn på ét øje.
- Patienter med en dyb stromal læsion med funktionelt syn på ét øje (med en efterfølgende hornhindetransplantation).

Behandling med Holoclar (og evt. efterfølgende hornhindetransplantation) er hos disse patienter forbundet med betydelige meromkostninger sammenlignet med standard understøttende behandling, der ikke står i rimeligt forhold med den kliniske merværdi (ikkedokumenterbar).

Sygdom og behandling

LSCD kan opstå efter omfattende skade ved øjenforbrændinger med involvering af hornhindens overfladestamceller, der ligger i den perifere del af hornhinden (limbus). Mangel på limbale stamceller nedsætter eller ophæver hornhindens mulighed for at hele op med dække af et normalt epitel. Hornhindens stroma kan ligeledes beskadiges.

LSCD har en anslået incidens på op til 5 patienter årligt afhængig af antal ulykker, prævalensen i Danmark er usikker, men anslås at være cirka 100 øjne og et estimat for patienter med et behandlingsønske anslås at være cirka 50 øjne. Standardbehandlingen i dag består af forskellige understøttende foranstaltninger: smøring, allogene serumøjendråber og bandagekontaktlinser (til sårheling).

Om lægemidlet

Holoclar's virkning antages at skyldes udskiftningen af hornhindeepitel og mistede limbale stamceller hos patienter, hvor limbus er blevet ødelagt. Under hornhindens reparationsproces er de overførte stamceller beregnet til delvist at formere sig, differentiere og migrere for herved at regenerere hornhindeepitel og indeholde et reservoir af stamceller, der fortsat kan regenerere hornhindeepitelet.

Hvert Holoclar-præparat er beregnet til en enkelt behandling. Administrationen af Holoclar skal efterfølges af en kortvarig antibiotika- og antiinflammatorisk behandling.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at Holoclar til moderat til alvorlig LSCD forårsaget af fysiske eller kemiske okulære forbrændinger giver en:

- **Stor klinisk merværdi** til patienter med en overfladisk læsion uden funktionelt syn på begge øjne (meget lav evidenskvalitet).
- **Stor klinisk merværdi** med en efterfølgende hornhindetransplantation til patienter med en dyb stromal læsion uden funktionelt syn på begge øjne (meget lav evidenskvalitet).
- **Ikkedokumenterbar klinisk merværdi** til patienter med en overfladisk læsion med funktionelt syn på ét øje (meget lav evidenskvalitet).
- **Ikkedokumenterbar klinisk merværdi** med en efterfølgende hornhindetransplantation til patienter med en dyb stromal læsion med funktionelt syn på ét øje (meget lav evidenskvalitet).

For patienter uden funktionelt syn på begge øjne lægger Medicinrådet vægt på, at behandling med Holoclar (og evt. efterfølgende hornhindetransplantation) gør det muligt at gøre blinde patienter seende igen. For patienter med funktionelt syn på ét øje lægger Medicinrådet vægt på, at okulære gener og livskvalitet er særligt vigtige effektmål, der begge er vurderet at have ikkedokumenterbar klinisk merværdi. Evidensens kvalitet er meget lav, da datagrundlaget ikke tillader en statistisk sammenligning i henhold til Medicinrådets metoder.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Behandling med Holoclar er forbundet med betydelige meromkostninger sammenlignet med standard understøttende behandling. Medicinrådet vurderer, at omkostningerne forbundet med Holoclar (og evt. efterfølgende hornhindetransplantation) er acceptable i forhold til den merværdi, lægemidlet tilbyder for patienter uden funktionelt syn på begge øjne. Medicinrådet vurderer, at omkostningerne forbundet med Holoclar (og evt. efterfølgende hornhindetransplantation) ikke er rimelige i forhold til den merværdi, lægemidlet tilbyder for patienter med funktionelt syn på ét øje.

Meromkostningerne drives udelukkende af lægemiddelomkostningerne til Holoclar.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet vurderer, at blindhed er en grundlæggende livsbegrænsende tilstand, som Holoclar kan modificere. Derfor accepterer Medicinrådet de betydelige meromkostninger forbundet med behandlingen med Holoclar for de to populationer, der er uden funktionelt syn på begge øjne.

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der foreligger ikke nogen behandlingsvejledning for limbal stamcellemangel.

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 Amgro 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.