

Medicinrådets anbefaling vedrørende darvadstrocel som mulig standardbehandling til komplekse perianale fistler

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler ikke** darvadstrocel som mulig standardbehandling til komplekse perianale fistler til følgende populationer:

- Patienter der har modtaget og fortsat modtager konventionel (immunsuppressiva) og biologisk behandling.
- Patienter der har modtaget og fortsat modtager konventionel behandling (immunsuppressiva).
- Patienter der har modtaget og fortsat modtager konventionel behandling (immunsuppressiva) og ikke er egnede kandidater til at få biologisk behandling.

Sygdom og behandling

Crohns sygdom (CD) er en inflammatorisk tarmsygdom, der er karakteriseret ved en kronisk betændelsestilstand i mave-tarm-kanalen. En karakteristisk manifestation af CD er komplekse perianale fistler (abnorm forbindelse fra endetarm til huden omkring endetarmsåbningen). Fistlerne medfører ofte betydelig forringelse af livskvalitet og er en prædikator for en dårlig langtidsprognose for perianal sygdom.

Målet med behandlingen af komplekse perianale fistler er, at fistelgangen heler, alternativt at reducere eller eliminere fistelsekretion og abscesrisiko. Behandlingen består af medicinsk behandling (antibiotika, immunsuppressiva og/eller biologisk behandling) og kirurgisk intervention (drænage, setontråd og/eller andre kirurgiske metoder).

Om lægemidlet

Darvadstrocel er ekspanderede humane allogene mesenkymale voksne stamceller ekstraheret fra fedtvæv. Stamcellerne stammer ikke fra den person, der bliver behandlet med stamcellerne. Fedtderiveret mesenkymal stamcellebehandling tilskrives antiinflammatoriske og immunmodulerende egenskaber.

Darvadstrocel indgives a 120 million celler (5 million celler/ml) som engangsdosis ved intralæsional injektion. Denne dosis er til behandlingen af op til to interne åbninger og op til tre eksterne åbninger.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at darvadstrocel i kombination med kirurgisk indgreb til patienter med komplekse perianale fistler ved mild til inaktiv CD giver:

- **Ingen klinisk merværdi** hos patienter, der har modtaget og fortsat modtager konventionel (immunsuppressiva) og biologisk behandling sammenlignet med kirurgisk indgreb alene (meget lav evidens kvalitet).
- **Ikke dokumenterbar klinisk merværdi** hos patienter, der har modtaget og fortsat modtager konventionel behandling (immunsuppressiva), sammenlignet med infliximab i kombination med kirurgisk indgreb (evidensens kvalitet kan ikke vurderes).
- **Ingen klinisk merværdi** hos patienter, der har modtaget og fortsat modtager konventionel behandling (immunsuppressiva) og ikke er egnede kandidater til at få biologisk behandling, sammenlignet med kirurgisk indgreb alene (meget lav evidens kvalitet).

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Behandling med darvadstrocel i kombination med kirurgisk indgreb er forbundet med høje meromkostninger sammenlignet med de relevante komparatorer. Medicinrådet finder, at der ikke er et rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi for darvadstrocel og meromkostningerne.

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 en RADS-behandlingsvejledning vedrørende dyre lægemidler til behandling af kroniske inflammatoriske tarmsygdomme. Medicinrådet finder, at vurderingen af darvadstrocel ikke påvirker denne behandlingsvejledning.

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.