

Medicinrådets anbefaling vedrørende caplacizumab som mulig standardbehandling til erhvervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP)

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler ikke** caplacizumab som mulig standardbehandling til erhvervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP).

Medicinrådet finder, at der ikke er et rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi og omkostningerne ved behandling med caplacizumab.

Sygdom og behandling

Erhvervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP) er en autoimmun akut livstruende tilstand. Antistoffer mod ADAMTS13 forhindrer spaltning af ultralange von Willebrand faktor-molekyler (vWF), hvorved der opstår ukontrolleret dannelse af blodpropper i de små blodkar.

aTTP behandles med daglig plasmaudskiftning og immunsupprimerende behandling, som opstartes, så snart der opstår klinisk mistanke om aTTP. Immunsupprimerende behandling består af glykokortikosteroid. I nogle tilfælde anvendes supplerende eller alternativ immunsupprimerende behandling, f.eks. i form af rituximab.

I Danmark estimeres der at være 15-20 patienter om året.

Om lægemidlet

Caplacizumab binder til ultralange vWF og hæmmer interaktion mellem von Willebrand faktor og blodplader. Herved bremses dannelsen af blodpropper.

Caplacizumab er indiceret til behandling af voksne, som oplever en episode med erhvervet trombotisk trombocytopenisk purpura (aTTP) i forbindelse med plasmaudskiftning og immunsuppression.

Behandling med caplacizumab påbegyndes med en dosis på 10 mg givet ved injektion i en blodåre før plasmaudskiftning. Behandlingen fortsættes med en daglig injektion a 10 mg under huden på maven efter daglig plasmaudskiftning og i 30 dage efter ophør af daglig plasmaudskiftning. Om nødvendigt kan behandlingen med caplacizumab forlænges.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at caplacizumab som tillæg til gældende standardbehandling til patienter med aTTP giver en **ikke dokumenterbar klinisk merværdi** sammenlignet med gældende standardbehandling alene. Evidensens kvalitet vurderes at være meget lav.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Behandling med caplacizumab i tillæg til gældende standardbehandling er forbundet med betydelige meromkostninger sammenlignet med gældende standardbehandling alene. Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem meromkostningerne og den kliniske merværdi ved behandling med caplacizumab.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har ikke fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed eller forsigtighed i anbefalingen.

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.

Godkendelsesdato	13. marts 2019
Ikrafttrædelsesdato	13. marts 2019
Dokumentnummer	43695
Versionsnummer	1.0
Fagudvalgets sammensætning og sekretariatets arbejdsgruppe	Se Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedr. caplacizumab som mulig standardbehandling til erhvervet trombotisk trombocytopenisk purpura.

© Medicinrådet, 2019. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

www.medicinraadet.dk

Sprog: dansk

Format: pdf

Udgivet af Medicinrådet, den 13. marts 2019