

Medicinrådets anbefaling vedrørende midostaurin som standardbehandling til akut myeloid leukæmi (AML)

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** midostaurin som mulig standardbehandling til akut myeloid leukæmi (AML).

Rådet lægger afgørende vægt på midostaurins kurative potentiale, idet langtidsoverlevelsen er forbedret ved brug af midostaurin. Dette forhold samt at de samlede budgetkonsekvenser er relativt små, opvejer den relativt høje pris per patient.

Medicinrådet anbefaler, at der efter et år følges op på patienter, som sættes i behandling med midostaurin på baggrund af indberetninger i AML-databasen.

Sygdom og behandling

Akut myeloid leukæmi (AML) er en akut og livstruende form for blodkræft. AML rammer oftest ældre personer over 50 år, og i Danmark diagnosticeres ~250 nye tilfælde i gennemsnit pr. år. Medianalder ved sygdomsdebut af AML er i Danmark 68 år. Ved udgangen af 2014 levede 850 personer med diagnosen. Kurativ behandling, som inkluderer intensiv kombinationskemoterapi, tilbydes godt halvdelen af alle nydiagnosticerede patienter baseret på alder, risici samt performancestatus.

Det forventes, at 40 nye patienter årligt vil være FLT3-muterede og dermed opfylde kravene for behandling med midostaurin; ud af disse vurderes det, at ca. halvdelen vil være < 60 år.

Den kurative behandling opdeles i to faser: Induktionsfasen og konsolideringsfasen. I induktionsfasen behandles med cytarabin og daunorubicin. I den efterfølgende konsolideringsfase foretages enten allogene stamcelletransplantation eller behandling med højdosis cytarabin.

Om lægemidlet

Midostaurin er en multitargeteret proteinkinasehæmmer, som inhiberer FLT3, som er muteret i 30 % af AML-patienter. Midostaurin er indiceret til voksne patienter med nydiagnosticeret akut myeloid leukæmi (AML), som er FLT3-mutation-positive, og gives i kombination med standard daunorubicin- og cytarabininduktion og højdosis konsolideringskemoterapi med cytarabin. Hos patienter med komplet respons gives efterfølgende midostaurin monoterapi som vedligeholdelsesbehandling.

Midostaurin administreres som 50 mg oralt to gange dagligt og markedsføres i en dosis på 25 mg per tablet.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at behandling med midostaurin til voksne patienter med nydiagnosticeret akut myeloid leukæmi (AML), som kan gives remissionsinducerende behandling med helbredende sigte, og som er FLT3-muterede, giver en:

- **lille klinisk merværdi** (evidensens kvalitet er **lav**)

Evidensen er tilvejebragt i aldersgruppen 18-59 år, hvorfor der er væsentlige forbehold i forhold til at overføre kategoriseringen direkte til patienter over 60 år.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Amgros har vurderet, at behandling med midostaurin er forbundet med betydelige meromkostninger sammenlignet med behandling med standard induktions- og konsoliderings-kemoterapi.

I modsætning til Amgros finder Medicinrådet, at meromkostningerne for midostaurin, baseret på aftaleprisen, er rimelige sammenlignet med den kliniske merværdi, som lægemidlet tilbyder. Dette baseres på, at der er tale om en behandling, som gives med kurative intentioner (ikke livsforlængende), hvor en del af patienterne helbredes (NNT = 13, opfølgningstid 5 år). Behandlingen gives kun til patienter, som kan tåle højdosis kemoterapi, og der er således tale om patienter med en rimelig god almen tilstand, som forventes at kunne leve en årrække frem, hvis de helbredes.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har fundet grund til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed i anbefalingen, idet lægemidlet har kurativt potentiale ved en sygdom med høj dødelighed, hvor forbedringer af behandlingsresultaterne historisk set har været begrænsede.

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der findes ingen behandlingsvejledning indenfor dette område.

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 forhandler 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 standardbehandling.

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