

Medicinrådets anbefaling vedrørende tisagenlecleucel som mulig standardbehandling til B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL)

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** tisagenlecleucel som mulig standardbehandling til patienter med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps.

Medicinrådet vurderer, at omkostningerne ved behandling med tisagenlecleucel er meget høje, selv hvor den store merværdi tages i betragtning. Under hensyn til alvorlighedsprincippet, vurderes forholdet mellem omkostningerne og den kliniske merværdi dog at være rimeligt.

Medicinrådet anbefaler, at der i klinikken systematisk indsamles relevante effekt- og bivirkningsdata for patienter med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som behandles med tisagenlecleucel. Efter 2 års dataindsamling vil Medicinrådet tage stilling til, om anbefalingen fortsat skal gælde.

Sygdom og behandling

ALL er en kræftform, der involverer stamcellerne i knoglemarven, som producerer hvide blodceller (lymfocytter). Der diagnosticeres årligt ca. 30 nye tilfælde af B-cellederiveret ALL (B-ALL) blandt børn og unge op til 25 år. Førstelinjebehandlingen er intensiv, langvarig og helbreder over 85 % af børn og unge med leukæmi. Det skønnes, at de resterende 10-15 % enten ikke responderer (refraktæritet) på behandlingen eller oplever tilbagefald (recidiv).

Der findes ingen standardbehandling for børn og unge med refraktær ALL eller (gentagne) tilbagefald, og valg af medicinsk behandling hos disse patienter er i høj grad tilpasset den enkelte patient og oftest eksperimentel. Behandlingen består, såfremt patienten kan tåle det, af yderligere intensiv kemoterapi.

Om lægemidlet

Tisagenlecleucel er indiceret til behandling af børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi (ALL), som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps. Tisagenlecleucel gives som en enkelt intravenøs infusion. Den anbefalede dosis af tisagenlecleucel for patienter under 50 kg er mellem $0,2 \times 10^6$ og 5×10^6 levedygtige CAR T-celler/kg legemsvægt og for patienter over 50 kg mellem $0,1 \times 10^8$ og $2,5 \times 10^8$ levedygtige CAR T-celler/kg legemsvægt. Før administration af tisagenlecleucel behandles patienten med lymfocytdepleterende kemoterapi.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at tisagenlecleucel til børn og unge op til 25 år med B-celle akut lymfatisk leukæmi, som er refraktære, i relaps efter stamcelletransplantation eller i andet eller senere relaps giver en stor klinisk merværdi. Den kliniske merværdi er baseret på lægemidlets kurative potentiale. I dag kureres én ud af tre patienter med den bedste tilgængelige behandling. Med tisagenlecleucel kan to ud af tre patienter potentielt kureres.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Behandling med tisagenlecleucel er forbundet med meget høje meromkostninger per patient sammenlignet med den bedste nuværende tilgængelige behandling. Under hensyn til alvorlighedsprincippet vurderer Medicinrådet dog, at forholdet mellem omkostningerne og den kliniske merværdi er rimeligt.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed i anbefalingen, da patientgruppen er børn og unge med akut dødelig sygdom, hvor tidligere behandling har været uden effekt, eller effekten har været tidsbegrænset. Tisagenlecleucel er en potentiel kurativ behandling, idet antallet af patienter som overlever fordobles. Patientgruppen har en meget ringe prognose ved nuværende tilgængelige behandling.

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der er ingen eksisterende behandlingsvejledninger på området

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.

Godkendelsesdato	30. januar 2019
Ikrafttrædelsesdato	30. januar 2019
Dokumentnummer	39735
Versionsnummer	1.0
Fagudvalgets sammensætning og sekretariatets arbejdsgruppe	Se baggrund for Medicinrådets anbefaling vedr. tisagenlecleucel som mulig standardbehandling til B-celle akut lymfatisk leukæmi

© 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, 30. januar 2019