

# Medicinrådets anbefaling vedrørende telotristat ethyl som mulig standardbehandling til karcinoid syndrom hos patienter med neuroendokrine tumorer

## Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet anbefaler telotristat ethyl i kombination med langtidsvirkende somatostatin-analoger (LA-SSA) som mulig standardbehandling til patienter med karcinoid syndrom ved neuroendokrine tumorer (NET), der ikke er velregulerede ved LA-SSA-behandling. Anbefalingen er baseret på et rimeligt forhold mellem den kliniske merværdi (lille) og omkostninger forbundet med telotristat ethyl i kombination med LA-SSA sammenlignet med LA-SSA alene.

Effekt og bivirkninger ved behandling med telotristat ethyl bør evalueres efter 4 ugers behandling. Oplever patienten ikke effekt efter 4 uger, bør behandlingen stoppes. For patienter med effekt af telotristat ethyl, bør behandlingen vedligeholdes, så længe effekten varer ved.

## Sygdom og behandling

NET er lavmaligne tumorer, der udvikles i de hormonproducerende celler i kroppens neuroendokrine system. De lokaliseres oftest i mave-tarmkanalen og pankreas (ca. 75 %). NET kan inddeles i fungerende og ikke-fungerende tumorer afhængigt af deres hormonproduktion. Ved fungerende tumorer kan karcinoid syndrom udvikles. Karcinoid syndrom forårsages af frigivelsen af serotonin og tachykininer fra levermetastaserne, hvilket øger tarmbevægelserne og udvider blodkarrene. Dette medfører bl.a. hyppige, vandtynde diarréer. Karcinoid syndrom ses typisk ved tyndtarms-NET patienter med levermetastaser. Prævalensen er estimeret til ca. 100-150 patienter, og incidensen er ca. 25-35 patienter om året. Karcinoid syndrom er en livslang tilstand for de fleste patienter, da mindre end 5 % bliver helbredt. Patienterne behandles primært symptomlindrende med LA-SSA. Dog er ca. 10 patienter om året ikke velreguleret herved.

## Om lægemidlet

Telotristat ethyl er en tryptophan hydroxylase (TPH) hæmmer. TPH er det hastighedsbestemmende (rate-limiting) enzym i serotonin syntese og findes primært i de enterochromaffine celler i mavetarmkanalen. Telotristat ethyl fører således til nedsat serotonin dannelse, da TPH hæmmes. Telotristat krydser ikke blod-hjerne-barrieren, hvorfor der ikke sker en nedsat serotonin dannelse i hjernen. Telotristat ethyl gives i tabletform, 250 mg, 3 tabletter dagligt, i kombination med LA-SSAs. Telotristat ethyl er beregnet til længerevarende systemisk terapi.

### Sundhedsfaglig vurdering

Medicinerådet vurderer, at telotristat ethyl i kombination med LA-SSA giver en **lille klinisk merværdi** (lav evidenskvalitet) sammenlignet med LA-SSA alene til patienter med karcinoid syndrom ved NET.

### Medicinerådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Behandling med telotristat ethyl i kombination med LA-SSA er forbundet med meromkostninger sammenlignet med LA-SSA alene. Medicinerådet vurderer, at der er et rimeligt forhold mellem disse meromkostninger og den kliniske merværdi (lille), som lægemidlet tilbyder.

### Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

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

### Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der foreligger en RADS-behandlingsvejledning vedrørende valg af LA-SSA ved NET. Vurderingen af telotristat ethyl påvirker ikke denne behandlingsvejledning.

### Om Medicinerådets anbefaling

Medicinerådets 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 aftalte pris vurderer Medicinerådet, om medicinens merværdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

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