

Medicinrådets anbefaling vedrørende burosumab som mulig standardbehandling til X-bundet hypofosfatæmi (XLH) hos børn og unge med skeletvækst

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** burosumab som mulig standardbehandling til X-bundet hypofosfatæmi (XLH) hos børn og unge med skeletvækst med RSS-score på minimum 2.

Medicinrådet vurderer, at omkostningerne ved behandling med burosumab er meget høje, selv når den moderat til store merværdi tages i betragtning. På trods heraf anbefaler Medicinrådet på nuværende tidspunkt behandlingen under hensyn til alvorlighedsprincippet.

Medicinrådet vil efter 3 år undersøge, om der er kommet nye data og på den baggrund vurdere, om sagen bør tages op igen. Medicinrådet noterer sig, at fagudvalget har udarbejdet en protokol for opstart og monitorering af behandling og indsamling af data om burosumabs effekt i dansk klinisk praksis.

Sygdom og behandling

X-bundet hypofosfatæmi (XLH) er en dominant arvelig sygdom med komplet penetrans for tab af fosfat i urinen. Den kliniske præsentation af sygdommen kan variere meget, selv inden for den samme familie og spænder over isoleret hypofosfatæmi (lav fosfatkoncentration i blodet) til svære skeletforandringer.

XLH har en incidens på 3,9/100.000 levendefødte og en prævalens blandt børn under 15 år på 4,8/100.000. Fagudvalget vurderer, at der på nuværende tidspunkt findes 33 børn og unge (1-18 år) med XLH i Danmark. Hertil vurderer fagudvalget, at der fødes ca. 2-3 børn med XLH årligt. Fagudvalget estimerer i øvrigt, at antallet af patienter med en sygdomssværhedsgrad svarende til en *Rickets Severity Score* på minimum 2 er ca. 8-10 patienter. Hertil vurderer fagudvalget, at der ud af de ca. 2-3 børn med XLH, som fødes årligt, vil være 0,75-1 barn/år med en sygdomssværhedsgrad svarende til en *Rickets Severity Score* på minimum 2.

Om lægemidlet

Burosumab er godkendt af EMA til behandling af XLH med radiografisk evidens for knoglesygdom hos børn i alderen 1 år og ældre og unge med skeletvækst.

Burosumab er et rekombinant fuldt humant monoklonalt antistof (IgG1), der binder til og hæmmer aktiviteten af FGF23. Ved at hæmme FGF23 øger burosumab den tubulære reabsorption af fosfat samt serumkoncentrationerne af fosfat og 1,25(OH)2D.

Burosumab skal administreres subkutant. Den anbefalede startdosis er 0,4 mg/kg legemsvægt. Dosis titreres efter fastende serumfosfat for at nedsætte risikoen for ektopisk mineralisering, og der stiles mod det nedre normalområde af fosfat i serum. Den typiske vedligeholdelsesdosis er 0,8 mg/kg legemsvægt hver 2. uge. Den maksimale dosis er 2 mg/kg legemsvægt eller 90 mg.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinerådet vurderer, at burosumab giver merværdi af ukendt størrelse, som antages at være moderat til stor sammenlignet med standardbehandling (peroral fosfatislud 4-6 gange dagligt og peroral alfacalcidol én gang om dagen) til behandling af XLH hos børn og unge med skeletvækst. Evidensens kvalitet vurderes at være lav. Medicinerådet tilslutter sig fagudvalgets vurdering af, at behandling med burosumab kun opstartes hos patienter med RSS-score på minimum 2, da der kun foreligger komparativ evidens for denne gruppe.

Medicinerådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til lægemidlets værdi

Behandling med burosumab er forbundet med meget høje meromkostninger pr. patient sammenlignet med konventionel behandling. På trods heraf anbefaler Medicinerådet på nuværende tidspunkt behandlingen under hensyn til alvorlighedsprincippet.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

Medicinerådet har fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed i anbefalingen, da patientgruppen er børn og unge med en kronisk invaliderende sygdom, der giver livslang funktionsnedsættelse og smerter.

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der foreligger ingen behandlingsvejledning for behandling af patienter med XLH.

Om Medicinerådets anbefaling

Medicinerådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver værdi 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 den ansøgende virksomhed. På den baggrund vurderer Medicinerådet, om medicinens værdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Godkendelsesdato	20. november 2019
Ikrafttrædelsesdato	20. november 2019
Dokumentnummer	63103
Versionsnummer	1.0
Fagudvalgets sammensætning og sekretariatets arbejdsgruppe	Se baggrund for Medicinerådets anbefaling vedrørende burosumab som mulig standardbehandling til X-bundet hypofosfatæmi (XLH) hos børn og unge med skeletvækst

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

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

www.medicinraadet.dk

Sprog: dansk

Format: pdf

Udgivet af Medicinerådet, 20. november 2019