

Medicinrådets anbefaling vedrørende lanadelumab som mulig standardbehandling til forebyggende behandling af arveligt angioødem

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** lanadelumab som mulig standardbehandling til forebyggende behandling af arveligt angioødem.

Medicinrådet finder, at der er et rimeligt forhold mellem lægemidlets værdi og omkostningerne ved lanadelumab sammenlignet med intravenøs C1-esteraseinhibitor.

Anbefalingen gælder for patienter med minimum fire anfald om måneden. For patienter med væsentligt nedsat livskvalitet, som ikke opfylder kriteriet om fire månedlige anfald, kan behandlingen først opstartes efter enkeltansøgning til den regionale lægemiddelkomite.

Den sundhedsøkonomiske analyse er behæftet med stor usikkerhed, særligt vedrørende patientantal og andel, der kan behandles med reduceret dosis. 12 måneder efter anbefalingens ikrafttrædelse ønsker Medicinrådet information om, hvor mange patienter der er opstartet behandling med lanadelumab, og hvor mange af patienterne der har opnået dosisreduktion, for at vurdere om antagelserne har været retvisende. Medicinrådet anmoder derfor de behandlende læger om at opsamle disse informationer.

Sygdom og behandling

Arveligt angioødem er en sjælden, arvelig tilstand præget af uforudsigelige anfald af hævelser i hud og slimhinder. Hævelserne er meget smertefulde og funktionsbegrænsende og rammer forskellige steder på kroppen. Oftest rammes ekstremiteterne, ansigtet, kønsorganerne, mave-tarm-kanalen og de øvre luftveje. Anfald, der rammer mave-tarm-kanalen, kan medføre voldsomme smerter, opkast og diarré.

Arveligt angioødem skyldes en genetisk defekt i det blodbaserede protein C1-esteraseinhibitor, hvilket resulterer i mangelfuld eller dysfunktionel C1-esteraseinhibitor. Aktuelt er der i Danmark registreret 109 patienter med arveligt angioødem, som jævnligt kontrolleres på det Nationale Kompetencecenter for HAE på Odense universitetshospital.

Behandlingen opdeles i akut anfaldsbehandling og forebyggende behandling. Behovet for forebyggende behandling vurderes under hensyntagen til patientens sygdomsaktivitet, anfaldsfrekvens/sværhedsgrad/lokation, livskvalitet og eventuelt manglende sygdomskontrol med anfaldsbehandling.

Om lægemidlet

Lanadelumab er indiceret til rutinemæssig forebyggelse af tilbagevendende anfald af arveligt angioødem hos patienter på 12 år og derover. Det administreres ved subkutan injektion. Patienten eller eventuelt en pårørende kan, efter oplæring, selv administrere behandlingen. Den anbefalede dosis er 300 mg hver 2. uge. Til patienter, som er stabile og ikke har nogen anfald, når de er under behandling, kan en dosisnedsættelse til 300 mg lanadelumab hver 4. uge overvejes.

Sundhedsfaglig vurdering

Fagudvalget vurderer, at lanadelumab til forebyggende behandling af patienter med arveligt angioødem giver en **merværdi af ukendt størrelse** sammenlignet med i.v. C1-esteraseinhibitor.

Evidensens kvalitet vurderes at være meget lav.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til lægemidlets værdi

De sundhedsøkonomiske analyser er forbundet med betydelige usikkerheder. Amgros' hovedanalyse viser en omkostningsbesparelse ved ibrugtagning af lanadelumab, men antagelserne om, hvor mange patienter som vil blive dosisreduceret, den gennemsnitlige anfaldsfrekvens, og hvor mange nye patienter som nu vil komme i forebyggende behandling, har stor indflydelse på de estimerede omkostninger. Samtidig er det sandsynligt, at effekten af i.v. C1-esteraseinhibitor er underestimeret i den sundhedsøkonomiske analyse, hvilket ligeledes har stor indflydelse på de estimerede omkostninger.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

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

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der foreligger ingen behandlingsvejledning for behandling af patienter med arveligt angioødem.

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets 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 Medicinrådet, om medicinens værdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Godkendelsesdato	22. januar 2020
Ikrafttrædelsesdato	22. januar 2020
Dokumentnummer	68176
Versionsnummer	1.0
Fagudvalgets sammensætning og sekretariatets arbejdsgruppe	Se Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedr. lanadelumab som mulig standardbehandling til forebyggende behandling af arveligt angioødem.