

Medicinrådets anbefaling vedrørende inotersen til arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2

MEDICINRÅDET ANBEFALER IKKE

inotersen til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

Inotersen er formentlig lidt bedre for patienterne end ingen behandling. Medicinrådet har lagt vægt på, at der er alvorlige bivirkninger forbundet med behandlingen. Medicinrådet vurderer derfor, at omkostningerne forbundet med behandlingen er for høje i forhold til lægemidlets effekt og bivirkninger.

VÆRDI FOR PATIENTERNE

Inotersen til hATTR med polyneuropati, stadie 1 og 2, giver en merværdi af ukendt størrelse, som formentlig er lille, sammenlignet med ingen behandling. Det betyder, at inotersen er lidt bedre for patienterne end ingen behandling. Medicinrådet har lagt vægt på, at målene med behandling med inotersen er at standse eller forsinke sygdomsprogression, således at livskvaliteten forbedres, og livet forlænges. Behandling med inotersen kan forsinke sygdomsprogressionen hos patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2. Effekten ses på neurologisk funktion og livskvalitet. Der er væsentlige alvorlige bivirkninger forbundet med behandling med inotersen. Dette kræver en tæt monitorering af alle patienter. En større andel af patienterne ophører med behandling med inotersen, hvilket tyder på, at en del af bivirkningerne ikke tolereres eller er så alvorlige, at de må føre til seponering af lægemidlet.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af inotersen med ingen behandling, er lav. Det betyder, at nye studier med moderat sandsynlighed kan ændre konklusionen.

OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Opgjort i listepreiser vil det koste ca. 4,2 mio. kr. mere at behandle én patient med inotersen end ved ingen behandling. De årlige budgetkonsekvenser for sundhedsvæsenet ville i det 5. år være ca. 11,1 mio. kr. ved ibrugtagning af lægemidlet.

Lægemiddelfirmaet har dog givet en fortrolig rabat, og derfor er de reelle tal lavere.



ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effektestimaterne, hvilket er forskelligt alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt at inddrage i denne sag.

ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til ikke at bruge inotersen til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling er et klinisk og økonomisk baseret råd til regionerne til brug for deres beslutning om at anvende et givet lægemiddel. Anbefalingen bygger på en vurdering af, om omkostningerne vedrørende brug af lægemidlet er rimelige, når man sammenligner dem med lægemidlets værdi for patienterne. I vurderingen af værdien for patienterne indgår både lægemidlets gavnlige effekter og bivirkninger. I nogle tilfælde spiller sygdommens alvorlighed en særlig rolle i afvejningen af forholdet mellem omkostninger og værdi.

© Medicinrådet, 2020. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk. Format: pdf. Udgivet af Medicinrådet, den 9. december 2020.