NT-rådet
REGIONERNAS SAMVERKANSMODELL FÖR LÄKEMEDEL

Reblozyl (luspatercept) vid myelodysplastiskt syndrom (MDS)

NT-rådets yttrande till regionerna 2024-06-28

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att inte använda Reblozyl vid vid myelodysplastiskt syndrom (MDS).

Tillståndets svårighetsgrad är måttlig.

Tillståndet är vanligt.

Osäkerheten i den vetenskapliga dokumentationen är måttlig.

Osäkerheten i den hälsoekonomiska värderingen är mycket hög.

I TLV:s hälsoekonomiska värdering har de patienter som uppnått minst åtta veckors transfusionsoberoende på behandling med Reblozyl i kombination med bästa understödjande vård (BUV) eller placebo i kombination med BUV jämförts med dem som inte svarat med åtta veckors transfusionsoberoende på behandling med Reblozyl i kombination med BUV eller placebo i kombination med BUV. TLV värderar kostnaden per vunnet QALY för Reblozyl till mellan cirka 3,7 och 5 miljoner kronor.

En sammanvägd bedömning av ovanstående faktorer gör att Reblozyl inte kan betraktas som kostnadseffektivt.

Det finns tre nivåer för NT-rådets rekommendationer till regionerna: att läkemedlet bör användas, kan användas eller att läkemedlet inte ska användas. Rekommendationen i det här fallet är att inte använda Reblozyl eftersom livskvalitetsvinster inte visats.

INAKTUELL

Om läkemedlet

Reblozyl (luspatercept) är ett rekombinant protein som stimulerar utmognaden av röda blodkroppar i benmärgen genom att hämma den vid MDS onormalt höga Smad-2/3-signaleringen som bromsar utmognaden.

Utvärderad indikation i aktuell rekommendation är behandling av vuxna patienter med transfusionsberoende anemi orsakad av myelodysplastiskt syndrom (MDS) med mycket låg, låg och medelhög risk.

Reblozyl har studerats i en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, fas 3-studie, Medalist, där effekten jämfördes med placebo hos vuxna patienter med mycket låg till medelhögrisk-MDS med ringsideroblaster och transfusionsberoende anemi. Båda grupperna erbjöds bästa understödjande vård som inkluderade blodtransfusion med röda blodkroppar, järnkelerare, antibiotika, antiviral- och svampdödande behandling vid behov. Primärt effektmått var minst åtta veckors sammanhängande transfusionsoberoende under de 24 första veckornas behandling. Sekundärt effektmått var bl a transfusionsoberoende under minst 12 veckor under de 48 första veckornas behandling. 229 patienter inkluderades, 153 erhöll Reblozyl, 76 placebo. Primärt effektmått uppnåddes av 37,9 % av dem som erhöll Reblozyl jämfört med 13,2 % av dem som erhöll placebo, p<0,001. Transfusionsoberoende under minst 12 veckor under de 48 första veckorna uppnåddes för 33,3 % av dem som erhöll Reblozyl jämfört med 11,8 % för dem som fick placebo, p<0,001.

Läkemedlet blev godkänt för försäljning 2020-06-25.

Reblozyl är ett rekvisitionsläkemedel och administreras som subkutan injektion av sjukvårdspersonal.

NT-rådets bedömning gällande läkemedlet

Den sammanvägda bedömningen gällande läkemedlet baseras på en värdering utifrån den etiska plattformen för prioriteringar och dess tre principer: människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Vid bedömningen har tillståndets svårighetsgrad, tillståndets sällsynthet och åtgärdens kostnadseffektivitet vägts in. Även osäkerheten i den hälsoekonomiska bedömningen påverkar vilken kostnad som bedöms acceptabel.

Tillståndets svårighetsgrad

Tillståndets svårighetsgrad är måttlig (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).
Med svårighetsgrad avses behovet och konsekvenserna av återkommande blodtransfusioner snarare än sjukdomen som sådan då behandling med Reblozyl inte visats påverka sjukdomsförloppet utan enbart behovet av blodtransfusioner.

Förekomst av tillståndet

Tillståndet är vanligt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt och vanligt).
Varje år insjuknar drygt 300 patienter i MDS i Sverige, cirka 70 % tillhör gruppen låg- till medelhögrisk-MDS.

Åtgärdens kostnadseffektivitet

Reblozyl doseras var tredje vecka och kostnaden per dos utifrån den genomsnittliga doseringen i den pivotala studien är 59 245 kr.

INAKTUELL

Osäkerhet i underlaget

Osäkerhet i den vetenskapliga dokumentationen
Osäkerheten är måttlig (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Den pivotala fas 3-studien är randomiserad, dubbelblind och möjliggör en direkt jämförelse med det mest relevanta jämförelsealternativet, inget tillägg till bästa understödjande vård.

Osäkerhet i den hälsoekonomiska bedömningen
Osäkerheten är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Studien var planerad att jämföra dem som fick Reblozyl i kombination med BUV med dem som fick placebo i kombination med BUV. Studien kunde inte visa någon skillnad i livskvalitet mellan de båda behandlingsarmarna och inte heller någon signifikant skillnad i överlevnad. Att i efterhand göra en ny indelning av patienterna utifrån respons i form av minskat transfusionsbehov, där patienter från båda behandlingsarmar blandas i de två grupperna responders och icke responders, och utifrån den nya indelningen hävda en överlevnadsvinst baserat på att transfusionsbehov vid MDS korrelerar till dålig överlevnadsprognos, kan ifrågasättas. Likaså att i efterhand applicera livskvalitetsvikter från publicerad litteratur i stället för att använda de livskvalitetsresultat som erhölls i studien.

Referenser

TLV:s hälsoekonomiska värdering

EPAR (produktresumé)

Assessment report (effekt och säkerhet)

Pivotal studie

Regionala cancercentrum i samverkan

Närvarande vid beslut

Åsa Derolf, ordförande NT-rådet; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen; Rickard Malmström, Sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.

INAKTUELL