Carvykti (ciltakabtagen-autoleucel) vid multipelt myelom

NT-rådets yttrande till regionerna 2024-03-07

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att inte använda Carvykti vid multipelt myelom

Tillståndets svårighetsgrad är mycket hög.

Tillståndet är mindre vanligt.

Osäkerheten i den vetenskapliga dokumentationen är mycket hög.

Osäkerheten i den hälsoekonomiska värderingen är mycket hög.

I TLV:s hälsoekonomiska värdering har Carvykti jämförts med standardbehandling (SOC) som representeras av en korg av behandlingar. TLV värderar kostnaden per vunnet QALY för Carvykti till 1,2 miljoner kronor jämfört med SOC.

En förhandling med företaget har genomförts, men den gav inte tillräckligt resultat avseende kostnadsreducering.

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

INAKTUELL

Om läkemedlet

Carvykti (ciltakabtagen-autoleucel) är en CAR-T-cellsterapi. Carvykti består av patientens egna T-celler som har modifierats genetiskt så att de uttrycker en chimär antigenreceptor (CAR). CAR kan binda till BMCA (B-Cell Maturation Antigen) som finns i höga nivåer på ytan av myelomceller. Antigenspecifik aktivering av Carvykti leder till att CAR-T-cellerna dödar cancercellerna.

Carvykti är indicerat för behandling av vuxna med recidiverande och refraktärt multipelt myelom som fått minst tre tidigare behandlingar, inklusive ett immunmodulerande läkemedel, en proteasomhämmare och en anti-CD38-antikropp och som har uppvisat sjukdomsprogression vid den senaste behandlingen.

Carvykti har studerats i en öppen, enarmad fas I/II-studie (CARTITUDE-1) innefattande vuxna patienter med recidiverande/refraktärt multipelt myelom (RRMM) som fått minst 3 tidigare behandlingar, inklusive en proteasomhämmare, en immunmodulerare och en anti-CD38-antikropp och som hade sjukdomsprogression vid eller inom 12 månader efter den senaste behandlingen. Studien inkluderade 113 patienter (ITT), varav 97 behandlades (mITT). Primärt effektmått var ORR (total svarsfrekvens) definierat som andelen patienter som uppnådde partiellt svar eller bättre efter bedömning av en oberoende granskningsgrupp. ORR var 84 % för ITT (95 % KI 76,0-90,3) och 97,9 % för mITT (95 % KI 92,7-99,7).

Resultaten från CARTITUDE-1 har jämförts indirekt med en prospektiv studie (LocoMMotion) där RRMM-patienter erhållit standardbehandling (SOC). Enligt den indirekta jämförelsen mellan Carvykti och SOC förelåg statistiskt signifikanta fördelar för Carvykti. Indirekta jämförelser är dock generellt behäftade med betydande osäkerheter och bör tolkas med stor försiktighet.

Läkemedlet blev godkänt för försäljning 2022-05-25.

Carvykti är ett rekvisitionsläkemedel och administreras som en engångsinfusion där patientens egna modifierade T-celler förs tillbaka. Carvykti måste administreras på en certifierad klinik, med särskilda kunskaper och resurser att hantera de potentiellt mycket allvarliga biverkningarna.

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 mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

Multipelt myelom kan med dagens tillgängliga behandlingsmetoder inte botas och målet med behandlingen är i stället att så länge som möjligt bibehålla patienten i remission eller med stabil sjukdom. Sjukdomen leder till komplikationer i flera olika organ, till exempel blodbrist, smärtor, infektionskänslighet och njurpåverkan. Medianöverlevnad för patienter vars sjukdom uppvisat resistens mot 3-4 tidigare terapier bedöms vara under ett år.

INAKTUELL

Förekomst av tillståndet

Tillståndet är mindre vanligt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt, och vanligt).

Cirka 600 svenskar insjuknar i multipelt myelom varje år. Endast en mindre andel av dessa kan vara aktuella för behandling med Carvykti, det vill säga patienter som genomgått minst tre tidigare behandlingslinjer och kan bedömas vara i tillräckligt gott allmäntillstånd.

Åtgärdens kostnadseffektivitet

Carvykti ges vid ett tillfälle. Företaget har angivit att det offentliga priset för Carvykti är 4 382 245 kronor.

Det finns inte någon enskild rekommenderad behandlingskombination vid återfall efter flera linjers behandling. Jämförelsealternativet utgörs av standardbehandling, (SOC), som i den hälsoekonomiska modellen representeras av en korg av olika behandlingar.

TLV värderar kostnaden per vunnet QALY för Carvykti till 1,2 miljoner kronor jämfört med SOC.

Osäkerhet i underlaget

Osäkerhet i den vetenskapliga dokumentationen

Osäkerheten är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

CARTITUDE-1 är en öppen, enkelarmad fas I/II-studie med få patienter. Resultaten från CARTITUDE-1 har jämförts indirekt med patienter behandlade med standardbehandling (SOC).

Osäkerhet i den hälsoekonomiska bedömningen

Osäkerheten är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).

TLV bedömer att osäkerheten i resultaten är mycket hög. Det beror främst på att företaget skattat Carvyktis relativa effekt med hjälp av indirekta jämförelser samt att den långsiktiga effektfördelen för Carvykti är okänd.

Tidpunkt för revision av yttrandet

Rekommendationen har förtydligats avseende åtgärdens kostnadseffektivitet 2024-12-11.

Referenser

TLV:s hälsoekonomiska värdering

EPAR (produktresumé)

Assessment report (effekt och säkerhet)

CARTITUDE-1

INAKTUELL

Närvarande vid beslut

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

INAKTUELL