



Blincyto (blinatumomab) vid akut lymfatisk leukemi (ALL) hos barn

NT-rådets yttrande till regionerna 2022-01-18

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avstå från generell användning av Blincyto vid akut lymfatisk leukemi (ALL) hos barn
- att Blincyto kan användas som bryggbehandling till barn och vuxna med ALL inför allogen stamcellstransplantation

I november 2019 beslutade NT-rådet, efter nominering från Region Västerbotten, om nationell samverkan för Blincyto (blinatumomab) vid akut lymfatisk leukemi (ALL) hos barn.

NT-rådet bedömde att det fanns ett intresse av att utvärdera Blincyto då det kan utgöra ett behandlingsalternativ till CAR-T, och att utvärdering är angeläget för att åstadkomma en helhetsbild om behandling vid ALL. TLV har efter beställning från NT-rådet gjort en hälsoekonomisk utvärdering av Blincyto som publicerades 26 maj 2021.

TLV anser att de relevanta jämförelsealternativen till Blincyto är Kymriah (tisagenlecleucel) och SOC (standard of care) kemoterapibehandling. Utifrån underlaget som företaget lämnat in till TLV har dock inte Kymriah som jämförelsealternativ kunnat utvärderas. Detta var den frågeställning som låg till grund för NT-rådets beslut om samverkan.

NT-rådet bedömer dock att Blincyto kan ha en plats som bryggbehandling inför allogen stamcellstransplantation. Svårighetsgraden för barn med högriskåterfall av ALL är mycket hög och behandlingsmålet är att patienterna ska gå i remission så att de kan erbjudas allogen stamcellstransplantation. Svenska Barnleukemigruppen (SBLG) anser att kortvarig behandling med Blincyto har ett värde som bryggbehandling inför allogen stamcellstransplantation, något som också omnämns i EMA:s Public Assessment Report. NT-rådet bedömer att Blincyto som bryggbehandling med största sannolikhet är kostnadseffektiv eftersom allogen stamcellstransplantation innebär möjlighet för bestående remission och bot.

Efter dialog med den nationella vårdprogramgruppen för ALL bedömer NT-rådet att bryggbehandling inför allogen stamcellstransplantation kan vara av värde även för vuxna patienter. Det rör sig enligt vårdprogramgruppen om väldigt få vuxna patienter som kan vara aktuella för bryggbehandling.



Om läkemedlet

Blinicyto (blinatumomab) är en bispecifik T-cellsengagerande antikropps konstruktion som binder specifikt till CD19 som uttrycks på ytan av celler av B-cellsursprung och CD3 som uttrycks på ytan av T-celler. Den aktiverar endogena T-celler genom att koppla samman CD3 i T-cellsreceptor-(TCR)-komplexet med CD19 på benigna och maligna B-celler. Blinicyto medierar bildning av en cytolytisk synaps mellan T-cellen och tumörcellen, varvid cytotoxiska T-celler frisätter proteolytiska enzymer som dödar måcellerna.

Utvärderad indikation: Behandling av pediatrik patient som är 1 år eller äldre med Philadelphia-kromosomnegativ CD19-positiv pre-B ALL, som är refraktär eller recidiverande efter minst två tidigare behandlingar eller recidiverande efter tidigare allogen hematopoetisk stamcellstransplantation.

Läkemedlet fick villkorat godkännande 2015-11-23. Godkännandet förnyades 2018-04-19, varvid det villkorade godkännandet togs bort.

Blinicyto är ett rekvisionsläkemedel där en enskild behandlingscykel utgörs av en 28 dagar lång kontinuerlig intravenös infusion.

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. Plattformen har operationaliserats i fyra relevanta dimensioner: Tillståndets svårighetsgrad, Åtgärdens effektstorlek, Tillståndets sällsynthet och Åtgärdens kostnadseffektivitet.

Tillståndets svårighetsgrad

Tillståndets svårighetsgrad är mycket hög (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög). Prognosen är mycket dålig för barn med högriskåterfall i ALL.

Åtgärdens effektstorlek

Den pivotala studien för behandling med Blinicyto hos barn, MT103-205, var en enarmad, öppen, multicenter fas 1/2-studie. Av de 70 patienter som erhöll den rekommenderade dosen uppnådde 39 % komplett respons inom 2 behandlingscykler (95 % KI 27–51 %) och median total överlevnad var 7,5 månader (95 % KI 4,0–11,8 månader).

Basen i TLV:s hälsoekonomiska bedömning utgörs av studien MT103-205, från vilken resultaten jämförts indirekt med registerdata från patienter behandlade med kemoterapi (SOC). Det föreligger inte någon statistisk signifikant skillnad vad gäller överlevnad efter behandling med Blinicyto jämfört med SOC kemoterapi.

NT-rådet bedömer dock att Blinicyto kan ha en plats som bryggbehandling inför allogen stamcellstransplantation.



Tillförlitlighet i den vetenskapliga dokumentationen

Tillförlitligheten är låg (på en skala av låg, måttlig, hög och mycket hög).
Dokumentationen baseras på en enarmad, öppen studie.

Förekomst av tillståndet

Tillståndet är mycket sällsynt (på en skala av mycket sällsynt, sällsynt, mindre vanligt, och vanligt).
Enligt TLV:s rapport insjuknar omkring 50 barn per år i ALL. 15 % av dem som insjuknar får återfall i sjukdomen.

Åtgärdens kostnadseffektivitet

Det föreligger inte någon statistiskt signifikant skillnad vad gäller överlevnad efter behandling med Blincyto jämfört med SOC kemoterapi. TLV bedömer, i grundscenariot där ingen överlevnadsvinst antas, att kostnaden per vunnet QALY för Blincyto jämfört med SOC kemoterapi är cirka 7,5 miljoner kronor.

NT-rådet bedömer dock att Blincyto som bryggbehandling inför allogen stamcellstransplantation sannolikt kan anses kostnadseffektiv, då det rör sig om kort behandlingstid och möjlighet till bot för en patientgrupp där botande behandling saknas.

Tidpunkter för revision av yttrandet

Detta yttrande ersätter yttrandet från 2021-07-01. TLV har efter en översyn av sekretessen publicerat en ny version av den hälsoekonomiska utvärderingen, vilket ligger till grund för uppdateringen.

Referenser

[TLV:s hälsoekonomiska värdering](#)
[EPAR - produktresumé](#)
[Public assessment report](#)

Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige;
Torbjörn Söderström, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland; Anna Lindhé, Västra regionen;
Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen.

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.