

Medicinrådets anbefaling vedrørende liposomal daunorubicin og cytarabin (CPX-351) som mulig standardbehandling til akut myeloid leukæmi

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler** liposomal daunorubicin og cytarabin (CPX-351) som mulig standardbehandling til behandlingsrelateret akut myeloid leukæmi (t-AML) eller AML med myelodysplasi-relaterede forandringer (AML-MRC) hos patienter som vurderes egnede til stamcelletransplantation. Rådet lægger afgørende vægt på det kurative potentiale for CPX-351, idet langtidsoverlevelsen er forbedret ved brug af CPX-351.

Medicinrådet fremhæver, at der er en overlevelsesgevinst sammenlignet med standardbehandling for de patienter, som kan modtage en stamcelletransplantation, hvilket betyder, at liposomal daunorubicin og cytarabin (ligesom standardbehandlingen) kun bør anvendes til patienter, som vurderes at være kandidater til en stamcelletransplantation.

Medicinrådet anbefaler, at man undersøger muligheden for hurtig cytogenetisk diagnostik, sådan at patienter med de novo AML med MDS-forandringer (hører under MRC-AML) diagnosticeres tids nok til, at CPX-351 kan overvejes som behandlingsmulighed.

Sygdom og behandling

Akut myeloid leukæmi (AML) er en akut og livstruende form for blodkræft. Af nydiagnosticerede AML-tilfælde er en undergruppe karakteriseret ved at være relateret til tidligere medicinsk behandling (t-AML) f.eks. med kemoterapi, mens en anden undergruppe af AML er karakteriseret ved myelodysplastiske forandringer (AML-MRC). Disse undergrupper er på grund af den underliggende biologi forbundet med kemoresistens og ringere overlevelse uanset alder end andre AML-undergrupper. 1-årsoverlevelsen for disse patienter er ca. 31-56 %, mens 3-årsoverlevelsen er ca. 11-25 %.

De patienter, som vurderes at være kandidater til kurativt regime, behandles for at genoprette normal bloddannelse og opnå komplet remission.

Om lægemidlet

CPX-351 er indiceret til behandling af voksne med nyligt diagnosticeret t-AML eller AML-MRC. CPX-351 er en liposomal formulering, som kombinerer daunorubicin og cytarabin i en 1:5 molarratio. Daunorubicin er celledødsinducerende og hæmmer celledelingen. Cytarabin virker også ved at hæmme celledelingen. Induktionsdosis er 44 mg/100 mg/m² på dag 1, 3 og 5, og for konsolideringen er dosis 29 mg/65 mg/m² på dag 1 og 3.

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at liposomal daunorubicin og cytarabin (CPX-351) til voksne patienter med nydiagnosticeret t-AML og AML-MRC sammenlignet med kurativt regime giver en:

- **Vigtig klinisk merværdi** (meget lav evidenskvalitet)

Det fremhæves, at der ikke synes at være en overlevelsesegevinst sammenlignet med standardbehandling for de patienter, som ikke kan modtage en stamcelletransplantation, hvilket betyder, at liposomal daunorubicin og cytarabin (ligesom standardbehandlingen) ikke bør anvendes til patienter, som ikke vurderes at være kandidater til en stamcelletransplantation.

Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Behandling med CPX-351 er forbundet med betydelige meromkostninger pr. patient sammenlignet med standardbehandling.

Tages sygdommens alvorlighed og det kurative potentiale i betragtning mener Medicinrådet, at meromkostningerne er rimelige sammenlignet med den kliniske merværdi, som lægemidlet tilbyder. Der er tale om en behandling, som gives med kurative intentioner, hvor en del af patienterne helbredes (NNT = 3, opfølgningstid 2 år). Behandlingen gives kun til patienter, som kan tåle højdosis kemoterapi, og der er således tale om patienter med en rimelig god almen tilstand, som forventes at kunne leve frem, hvis de helbredes.

Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed

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

Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Der er ingen behandlingsvejledninger udarbejdet af Medicinrådet eller RADS indenfor området.

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver merværdi 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 ansøgeren. På baggrund af den forhandlede pris vurderer Medicinrådet, om medicinens merværdi står mål med prisen, og om medicinen derfor kan anbefales som mulig standardbehandling.

Godkendelsesdato	10. april 2019
Ikrafttrædelsesdato	10. april 2019
Dokumentnummer	44944
Versionsnummer	1.0
Fagudvalgets sammensætning og sekretariatets arbejdsgruppe	Se baggrund for Medicinrådets anbefaling vedr. liposomal daunorubicin og cytarabin (CPX-351) som mulig standardbehandling til akut myeloid leukæmi.

© Medicinrådet, 2019. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

www.medicinraadet.dk

Sprog: dansk

Format: pdf

Udgivet af Medicinrådet, 10. april 2019