

Läkemedelsrådet



Dokumentet fastställt av Läkemedelsrådet: 2017-06-01

Riktlinjerna giltiga t o m: 2019-06-01

Regionala riktlinjer för läkemedlet Erivedge® (vismodegib) vid behandling av basalcellscancer (BCC) i Region Skåne

Rekommendation om plats i terapin

Hos de uppskattningsvis tio nya vuxna patienter med basalcellscarcinom eller symtomatiskt metastaserat basalcellscarcinom, som inte är lämpade för behandling med kirurgi eller strålning gäller följande:

- Kontakta överläkare i dermatologi vid hudmottagning specialiserad, SUS, som har erfarenhet av Erivedge för insättande av denna behandling.

Bakgrund och klinisk effekt

Hedgehog-signalvägen är en kritisk regulator av cellernas utveckling (differentiering) vid embryogenesen och nedregleras normalt hos vuxna. Vid mutationer där denna signalväg är fortsatt aktiv kan emellertid flera olika cancerformer utvecklas, däribland basalcellscancer. Erivedge innehåller det aktiva ämnet vismodegib som är en oralt tillgänglig, lågmolekylär hämmare av hedgehogsystemet. Hedgehog signalerar genom det transmembrana proteinet Smoothened (SMO) vilket leder till att transkriptionsfaktorn GLI ("Glioma-Associated Oncogene") aktiveras och lokaliseras till cellkärnan där den inducerar transkription av hedgehogs målgener där många av dessa är inblandade i proliferation, överlevnad och differentiering av celler. Substansen vismodegib binder till och hämmar SMO-proteinet och blockerar därigenom hedgehog signaltransduktion vilket leder till krympning av cellerna i basalcellscancer med denna mutation.

Indikationer

Erivedge är avsett för behandling av vuxna patienter med avancerad basalcellscancer;

- basalcellscarcinom som inte är lämpat för behandling med kirurgi eller strålning (lokalt avancerad basalcellscancer)
- symtomatiskt metastaserat basalcellscarcinom

Koppling till nationella och internationella riktlinjer

Några oberoende internationella riktlinjer för vismodegib finns för närvarande icke.

NT-rådet rekommenderar landsting och regioner att inte systematiskt använda vismodegib eftersom preparatet inte bedömts kostnadseffektivt.

[http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Vismodegib-\(Erivedge\)-160517-v2.pdf](http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Vismodegib-(Erivedge)-160517-v2.pdf)

Då NT-rådets rekommendation gäller systematisk användning ska individuella fall i Region Skåne hanteras enligt denna riktlinje.

Aktuella förskrivare

Överläkare i dermatologi vid specialiserade enheten, Hudkliniken SUS som har erfarenhet av behandling av den godkända indikationen. Innan påbörjad behandling diskuteras och bedöms patientfallet av minst två olika överläkare på kliniken.

Aktuell patientpopulation

Region Skåne, årligen uppskattningsvis 10 nya patienter.

Kostnader

För läkemedel: Dosering är 1 tablett a 150 mg per dag. Behandling enl. nuvarande erfarenhet är till utläkning eller lokal tumörprogress eller att patientens biverkningar blir så besvärliga att behandlingen måste avbrytas, erfarenhetsmässigt är behandlingstiden 3-6 månader. För patienter med basalcellsnevussyndrom, där patienten kan ha fler än hundra samtidiga tumörer, kommer behandlingen sannolikt att pågå i perioder, med behandlingspauser, resten av livet. Det blir ökade kostnader för patientmonitoreringen men besparingar på minskat antal operationer samt strålbehandlingar. För patienterna med basalcellsnevussyndrom kommer antalet läkarbesök och lidande sannolikt markant att minska. Hos alla patientkategorier kommer tumörnära organ sannolikt att kunna sparas i hög grad, något som vid nuvarande behandlingar inte kan ske (t.ex. ögon/syn, öron/hörsel).

Uppföljning

Standardiserad uppföljning med monitorering vid specialiserade enheten, Hudkliniken SUS. Patienter som fått insatt behandling från november 2014 till och med december 2017 kommer att följas i icke interventionsstudie i ytterligare tre år. Patienter som insätts på behandling från och med januari 2018 kommer att följas på liknande sätt men i ordinarie journalsystem. Alla patienter (båda män och kvinnor) måste följa de råd om preventivmetoder som beskrivs i broschyren: Erivedge graviditetsförebyggande program: Information till patienter som tar Erivedge.

Övrigt

Erivedge ska rekvireras till kliniken och där delas ut till patienten om prisavtal finns. I annat fall ordinerar läkemedlet via e-recept eller dosapoteket med texten: "Undantagshantering. Utan kostnad för patienten".

Författare

Niels Bendsöe