

## Läkemedelsrådet



Dokumentet fastställt av Läkemedelsrådet 2014-09-12

Uppdaterat 2015-11-04

Riktlinjerna giltiga t o m 2016-03-12

## Regionala riktlinjer för ruxolitinib (Jakavi) vid Myelofibros i Region Skåne

### Rekommendation om plats i terapin

Ruxolitinib-behandling övervägs till myelofibrospatienter med s k högrisk sjukdom ("high and intermediate-2") där annan behandling inte varit framgångsrik.

### Bakgrund och klinisk effekt

Myelofibros är en ovanlig kronisk myeloproliferativ sjukdom som finns dels i en primär form, dels i s k post-polycytemisk respektive post-trombocytemisk form, dessa skiljer sig icke åt kliniskt eller behandlingsmässigt. Den enda idag kända botande behandlingen är allogen stamcellstransplantation som inte kan genomföras hos äldre individer och som kan ha en betydande morbiditet och mortalitet. För risk- och prognosbedömning finns ett flertal modeller varav de mest använda är DIPSS (Dynamic International Prognostic Scoring System) respektive DIPSS-plus, där man i dagligt tal delar in sjukdomen i s k lågrisk (medelöverlevnad mellan 78-185 månader) och högrisk (medelöverlevnad 16-35 månader). Behandlingen är i de flesta fall symtomlindring, minskning av mjältstorleken samt sannolikt en överlevnadsvinst. Det är ingen botande behandling. Ruxolitinib (Jakavi) är en av dessa JAK2-hämmare som nu är godkänd både av FDA och EMEA samt TLV-förhandlad i Sverige.

### Indikationer och subventionsbeslut

I FASS-texten anges indikationen för ruxolitinib till sjukdomsrelaterad splenomegali eller symtom hos vuxna patienter med primär myelofibros, post-polycytemisk vera-myelofibros eller post-essentiell trombocytemi-myelofibros.

Jakavi är subventionerat och ingår i högkostnadsskyddet endast för patienter med myelofibros av intermediär-2 eller hög risk.

### Koppling till nationella och internationella riktlinjer

Den Nordiska gruppen för myeloproliferativa sjukdomar har publicerat sina riktlinjer (sfhem.se) och här framgår att: "Ruxolitinib should be considered in patients with high or intermediate-2 risk disease with marked splenomegaly or constitutional symptoms not being controlled by conventional

drug therapy such as hydroxyurea (Hydrea) or interferon (PEGASYS, Peg-Introna). Sålunda skiljer sig de Nordiska riktlinjerna något från FASS-texten och vi inom Region Skåne kommer att följa de Nordiska riktlinjerna dvs i praktiken övervägs behandlingen enbart till myelofibrospatienter med s k högrisk sjukdom ("high and intermediate-2" där annan behandling inte varit framgångsrik).

### **Aktuella förskrivare**

Ruxolitinib kan förskrivas av specialist i hematologi, efter samråd med diagnosgruppsansvariga inom myeloproliferativa sjukdomar på SUS.

### **Aktuell patientpopulation**

Uppskattad patientpopulation 4-6 patienter per år inom Region Skåne.

### **Kostnader**

Normaldos ruxolitinib är 15 mg x 2 vilket motsvarar en kostnad av 34 406 kr/månad enligt FASS. Vid lägre trombocytvärden ges lägre dos t ex 5 mg x 2 vilket motsvarar en kostnad på 18 228 kr/månad enligt FASS. Inga ökade kostnader associerade med behandlingen, kan snarast eventuellt minska då patienterna oftast mår bättre och kan tänkas kunna återgå i arbete samt eventuellt leva längre.

### **Uppföljning**

Dessa patienter följes och kontrolleras av specialist inom hematologi.

### **Författare**

Lars Nilsson, Hematologiska kliniken, SUS

### **Referenser**

- Srdan Verstovsek et al. NEJM 366;9, 2012. A Double-Blind, Placebo-Controlled Trial of Ruxolitinib for Myelofibrosis (COMFORT-I-studien).
- Clair Harrison et al, NEJM 366;9, 2012. JAK Inhibition with Ruxolitinib versus Best Available Therapy for Myelofibrosis (COMFORT-II-studien).
- Francisco Cervantes et al, Blood, 2013. Three-year efficacy, safety, and survival findings from COMFORT-II, a phase 3 study comparing ruxolitinib with best available therapy for myelofibrosis.
- Nordic guidelines on the diagnosis and treatment of patients with Myeloproliferative Neoplasms (sfhem.se).