

NT- rådet

**Hälso- och sjukvårdsdirektörs-
nätverket**

NT-rådets yttrande till landstingen gällande edaravone (Radicut/Radicava) vid amyotrofisk lateral skleros

NT-rådet rekommenderar landstingen

- att avstå från licensförskrivning av edaravone vid ALS tills mer dokumentation om läkemedlets effekt, säkerhet och kostnadseffektivitet är tillgänglig.

Bakgrund

NT-rådet har av ett landsting ombetts att yttra sig gällande edaravone (Radicut/Radicava) vid amyotrofisk lateral skleros (ALS). Edaravone fick i maj 2017 godkännande av FDA och är sedan 2015 godkänt i Japan och Sydkorea. Mitsubishi T Pharma som innehar patentet på edaravone har inte lämnat in någon registreringsansökan i Europa.

Edaravone ges som en intravenös infusion. Effekt och säkerhet av edaravone har utvärderats i två kliniska studier på japanska patienter. I den ena studien randomiserades 206 patienter till behandling med edaravone eller placebo i 24 veckor. Studien visade ingen statistiskt signifikant effekt på överlevnadstid eller funktionsskalan ALSFRS-R¹. Ytterligare en studie har genomförts där 137 patienter i tidigt sjukdomsstadium, med normal lungfunktion och långsam sjukdomsutveckling fick edaravone eller placebo i 24 veckor. Edaravone-gruppen visade en mindre förändring i ALSFRS-R jämfört med placebo (-5,01 respektive -7,50); skillnaden mellan grupperna var 2.49 ± 0.76 (95% CI 0,99-3,98 $p=0.001$)². Det finns ingen dokumentation av effekter i andra ALS-patientgrupper än den studerade, vilken bedöms utgöra en mycket liten andel (7% i en patientdatabas i Holland) av samtliga ALS-patienter. Ingen studie har publicerats som visar på ökad överlevnadstid hos edaravone-behandlade patienter (oberoende på typ av ALS-sjukdom) eller effekt av edaravone efter mer än 24 veckors behandling.

Den europeiska ALS-forskarföreningen ENCALS har i ett öppet brev uppmanad Mitsubishi T Pharma att utföra en längre randomiserad dubbelblind fas-3 studie i Europa. Fem svenska ALS-neurologer är medförfattare till detta brev³.

NT-rådets sammanvägda bedömning gällande edaravone

NT-rådet bedömer att den kliniska dokumentation för edaravone vid ALS är otillräcklig. Läkemedlet är inte godkänt i EU och hälsoekonomisk värdering saknas. Mot bakgrund av detta rekommenderas landstingen att avstå från licensförskrivning av edaravone tills ett tillräckligt kunskapsunderlag för att bedöma läkemedlets värde är tillgängligt.

För NT-rådet

Gerd Lärfars, ordförande

Referenser:

1. Abe K et al [Confirmatory double-blind, parallel-group, placebo-controlled study of efficacy and safety of edaravone \(MCI-186\) in amyotrophic lateral sclerosis patients](#), Amyotrophic Lateral Sclerosis and Frontotemporal Degeneration Vol. 15 , Iss. 7-8,2014
2. Abe K et al, Safety and efficacy of edaravone in well-defined patients with amyotrophic lateral sclerosis: a randomised, double-blind, placebo-controlled trial. The Lancet Neurology , Volume 16 , Issue 7 , 505 - 512
3. [July 2017 ENCALS statement on edaravone](#). 2017 Oct 4:1-4. doi: 10.1080/21678421.2017.1369125. [Epub ahead of print]. PMID: 28975816

Närvarande vid beslut: Anna Lindhé, Västra regionen; Maria Landgren, Södra regionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Johannes Blom, Stockholm-Gotlands sjukvårdsregion; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen.

Jäv: Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet