

Når det kun går ud over en lille gruppe MDS patienter

af Niels Jensen

3-5% af nydiagnosticerede MDS patienter har en mutation i IDH1 genet (Thol et al. 2010). Det vil i Danmark svarer til omkring ti patienter om året. Disse patienter har ofte højrisiko sygdom og når behandling med azacitidin ikke virker er prognosen for disse MDS patienter meget dårligt med en median overlevelse på under et halvt år (Abuhelwa et al. 2024).

Det kliniske forsøg leverer gode nyheder

I efteråret 2023 kom der gode nyheder for denne lille gruppe patienter, da FDA godkendte ivosidenib til behandling af MDS med IDH1 mutation (Center for Drug Evaluation & Research 2023). Ifølge en artikel i Blood (Abuhelwa et al. 2024) øger ivosidenib overlevelsen til omkring 2½ år. Det er jo en god nyhed, og det førte til FDA's godkendelse. Desværre var det kliniske forsøg et open-label, enkeltarms, multicenterstudie - altså et klinisk forsøg, hvor alle patienter fik det nye lægemiddel uden lodtrækning. Denne type forsøg er nok valgt i lyset af den meget lave historiske overlevelse i patientgruppen uden behandling. Resultatet er dog manglende evidens, når institutioner, som Medicinrådet i Danmark, skal beslutte, om lægemidlet kan anvendes.

Et lægemiddel der er nemt at tage

Ivosidenib er et oralt lægemiddel, altså en pille. Ivosidenib (Tibsovo) er en målrettet, oral pillebehandling godkendt af FDA til voksne med IDH1-mutert, tilbagevendende eller upåvirkelig (med andre lægemidler) MDS. Det virker ved at blokere det muterede IDH1-protein, hvilket giver blodlegemerne mulighed for at modnes. Det er godkendt i USA til både lavrisiko og højrisiko MDS patienter med IDH1 mutation.

Men ikke uden bivirkninger!

De mest almindelige bivirkninger var sammenlignelige med de bivirkninger, man ser, når ivosidenib anvendes på AML patienter med IDH1 mutation. De omfatter diarré, slimhindebetændelse, kvalme og forstoppelse, smerte fra kæbeledet, fatigue, hoste, kløe og muskelsmerter. Det spørgsmål, som patienten skal stille sig selv er: *Hvad bliver min livskvalitet, såfremt jeg tager Libsovo?*

Manglende ressourcer i firmaet bag

Men ivosidenib er endnu ikke godkendt af EMA til behandling af MDS med IDH1 mutation. Det er kun godkendt til behandling af AML med IDH1 mutation. Desværre kan der være lange udsigter til at få ivosidenib godkendt til MDS med IDH1 mutation, da firmaet bag Tibsovo har begrænsede ressourcer, og deres fokus ifølge et møde i MDS Alliance i efteråret 2025 ikke var en ansøgning til EMA udvidet markedsføring af produktet. Det er markedsføring af Tibsovo til behandling af IDH1-muterede AML patienter, og disse er der 3 gange så mange af.. I Danmark har Medicinrådet også afvist brug af Tibsovo til AML patienter med IDH1 mutation, da overlevelses fordelene ikke er godt nok dokumenterede (Steen-Andersen 2025).

Det er helvedes dyrt!

Ivosidenib kostede i januar 2026 ca. 150.000 kr for 60 piller med 250 mg ivosidenub, som tages dagligt under et måltid. Ifølge Hæmatologisk Tidsskrift (User 2023) er den daglige dosis 500 mg, svarende til to piller.. Så det koster omkring 5.000 kr dagligt. Det svarer til omkring 150.000 kr om måneden, og må siges at være i den dyre ende, når man sammenligner med de månedlige gennemsnits-udgifter til andre kræftbehandlinger i Danmark.

Konklusion

Det er dyrt at udvikle lægemidler, og når man taler om nogle få procenter af en patientgruppe, som allerede for hele gruppen er en sjælden sygdom, så er det ganske svært at få de økonomiske ender mellem samfundets betalingsevne og firmaets ønske om at tjene penge til at nå hinanden. Det er desværre situationen for IDH1 muterede MDS (og også AML) patienter ikke blot i Danmark, men i hele Europa.

Situationen skal ses i lyset af, at vi bevæger os i retning af at flere og flere sygdomme behandles ud fra specifikke forandringer på molekylært niveau, som det bl.a. ses i den seneste klassifikation WHO HEM 5 af dysplastiske neoplasier (MDS). Er vejen frem personlig medicinering, som udvikles på hospitalet og gives til den enkelte patient?

Referencer

- Abuhelwa, Z. et al., 2024. The argument for targeted therapy in *IDH1* mutated myelodysplastic syndromes (MDS): Poor outcomes post-hypomethylating agent failure in higher risk MDS and reduced leukemia free survival in lower risk MDS. *Blood*, 144(Supplement 1), pp.4589–4589.
- Center for Drug Evaluation & Research, 2023. FDA approves ivosidenib for myelodysplastic syndromes. *U.S. Food and Drug Administration*. Available at: <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-approves-ivosidenib-myelodysplastic-syndromes> [Accessed February 27, 2026].
- Steen-Andersen, A.M., 2025. Overlæge om afvisning af Tibsovo til behandling af IDH1+ AML: Vi er ikke så overraskede. Available at: <https://haematologisktidsskrift.dk/sygdomme/leukaemi/1540-overlaege-om-afvisning-af-tibsovo-til-behandling-af-idh1-aml-vi-er-ikke-sa-overraskede.html> [Accessed February 28, 2026].
- Thol, F. et al., 2010. IDH1 mutations in patients with myelodysplastic syndromes are associated with an unfavorable prognosis. *Haematologica*, 95(10), pp.1668–1674.
- User, S., 2023. FDA godkender Tibsovo til patienter med fremskreden MDS. Available at: <https://haematologisktidsskrift.dk/sygdomme/myelodysplastiske-syndromer/1267-fda-godkender-tibsovo-til-patienter-med-fremskreden-mds.html> [Accessed February 28, 2026].