

28. februar 2018

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

+45 70 10 36 00  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)  
[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)

## Medicinrådets opgave

Medicinrådets opgave er at udarbejde anbefalinger vedrørende nye lægemidler og behandlingsvejledninger.

Medicinrådets beføjelse vedrørende vurdering af nye lægemidler i henhold til Rådets kommissorium er alene at anbefale, hvorvidt et nyt lægemiddel kan anvendes som mulig standardbehandling. Rådet har ikke hjemmel til at træffe afgørelser.

## Folketingets syv principper for prioritering af sygehusmedicin

Medicinrådet iagttager **altid** Folketingets syv principper for overordnede principper for prioritering på området for sygehuslægemidler. Denne forpligtelse er fastlagt i Medicinrådets kommissorium.

Vores metoder, som er fastlagt af Danske Regioner, vil af og til udfordre det syvende princip, om at alle patientgrupper, store som små, skal have lige adgang til behandling. Det skyldes, at datagrundlaget for små sygdomsområder sædvanligvis vil være mere spinkelt.

Vi tager højde for denne problemstilling ved at inddrage et alvorlighedsprincip i vurderingen, som afspejler et hensyn til alvorlighed udover behandlingseffekt og omkostninger. Dette mandat blev givet til Medicinrådet af Danske Regioner ved etableringen af Medicinrådet.

Rådets anbefalinger baserer sig dog altid på en helhedsvurdering, hvorfor alvorlighedsprincippet ikke trumfer andre nødvendige og relevante hensyn.

Yderligere information om Medicinrådets anvendelse af alvorlighedsprincippet kan findes her:  
[http://medicinraadet.dk/media/5805/medicinraadet\\_anvendelse-af-alvorlighedsprincippet\\_september-2017.pdf](http://medicinraadet.dk/media/5805/medicinraadet_anvendelse-af-alvorlighedsprincippet_september-2017.pdf)

## Anvendelse af Medicinrådets anbefalinger

Medicinrådet fungerer som et regionalt samarbejde mellem de fem regioner. Medicinrådets anbefalinger udsendes til regionerne, og implementering af anbefalingerne sker i de enkelte regioner.

Anbefalingerne er ikke bindende for regionerne.

Medicinrådet tager ikke stilling til behandling af enkeltpatienter, men alene om et lægemiddel generelt anbefales som mulig standardbehandling.

### **Anbefalinger vedrørende nye lægemidler, ikke godkendelse**

Medicinrådet godkender ikke lægemidler. Godkendelse i form af en markedsføringstilladelse gives af Europa-Kommissionen eller Lægemiddelstyrelsen. Et lægemiddel er derfor allerede godkendt af myndighederne og kan være på markedet, når Medicinrådet tager stilling til, om det vil anbefale lægemidlet som mulig standardbehandling.

### **Inddragelse af eksperter i Medicinrådets arbejde**

Faglige eksperter inddrages **altid** i Medicinrådets arbejde. For hvert sygdomsområde nedsætter Medicinrådet et fagudvalg med 10-12 personer, der består af behandlende læger fra regionerne, farmaceuter, patientrepræsentanter mv.

Fagudvalgenes opgave er at foretage en faglig vurdering af lægemidlet. Denne vurdering udgør det faglige grundlag for Medicinrådets anbefaling.

Fagudvalgene kender ikke den forhandlede pris for lægemidlet, og de forholder sig ikke til omkostningerne ved at anvende lægemidlet. Den faglige vurdering i Medicinrådets fagudvalg foregår uafhængigt af de økonomiske vurderinger af lægemidlet.

### **Fagudvalgets opgaver**

Når Medicinrådet modtager en foreløbig ansøgning om et nyt lægemiddel, udarbejder det relevante fagudvalg en protokol, der definerer de faglige kriterier, der skal ligge til grund for vurderingen af et nyt lægemiddel.

Fagudvalgets udkast til protokol godkendes af Medicinrådets formænd efter dialog med fagudvalget.

Fagudvalget vurderer derefter de studier af det pågældende lægemiddel, som den ansøgende virksomhed har indsendt, og udarbejder et udkast til en kategorisering af lægemidlets kliniske merværdi, som fagudvalget præsenterer for og drøfter med Rådet. Når Rådet har godkendt kategoriseringen af lægemidlet, er fagudvalgets arbejde afsluttet. Fagudvalget involveres ikke i Rådets drøftelser om anbefalingen vedrørende lægemidlet.

### **Rådets anbefaling**

Rådets anbefaling vedrørende et nyt lægemiddel er en samlet vurdering af alle de aspekter, der er relevante for en anbefaling til mulig standardbehandling herunder omkostninger ved at anvende lægemidlet i forhold til dets effekt, hensynet til det samlede patientbillede samt eventuel inddragelse af alvorligheds- eller forsigtighedsprincipperne.

### **Krav til data og viden**

Det er den ansøgende lægemiddelvirksomheds ansvar at levere den kliniske evidens for et lægemiddels effekt. Data skal som udgangspunkt være publiceret i videnskabelige tidsskrifter eller lignende.

Vurderingsrapporten fra det europæiske lægemiddelagentur (EMA), kaldet lægemidlets EPAR, betragtes i denne forbindelse som en videnskabelig publikation.

Det har imidlertid aldrig været Medicinrådets opfattelse eller praksis, at den tilgængelige evidens skal stå alene i vurderingen af et lægemiddel. Evidensen bliver altid suppleret med en klinisk vurdering i fagudvalgene, hvor fagudvalget vurderer evidensens relevans i forhold til den danske kliniske virkelighed, herunder i hvilken grad de fundne effekter i studierne har betydning for patienten.

På baggrund af det første års erfaringer med vurdering af nye lægemidlers kliniske merværdi, arbejder Medicinrådet i øjeblikket på en opdatering af ”Metodehåndbog for Medicinrådets arbejde med at udarbejde fælles regionale vurderinger af nye lægemidlers og nye indikationers kliniske merværdi”.

Med den igangværende revidering af Metodehåndbogen forventer Medicinrådet at tydeliggøre opdelingen mellem sammenfatningen af den tilgængelige evidens og den kliniske vurdering, som fagudvalget foretager.

Medicinrådet forlader sig hverken med den hidtidige metode eller i forslaget til den ændrede vejledning på GRADE-metoden alene. GRADE er et supplerende redskab, der kan sige noget om tiltroen til den konklusion, som umiddelbart kan ses i den tilgængelige evidens. GRADE siger derfor ikke noget om, hvor godt lægemidlet virker.

### **Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen (Spinraza)**

Medicinrådet har drøftet en anbefaling vedrørende nusinersen (Spinraza) som mulig standardbehandling til 5q spinal muskelatrofi to gange: den 12. oktober 2017 og igen den 30. januar 2018, efter at den ansøgende medicinalvirksomhed havde ansøgt Medicinrådet om at revurdere anbefalingen på baggrund af en ny prisforhandling. Ansøger havde ikke fremsendt nye data, men alene en ny pris.

Fagudvalget vedrørende spinal muskelatrofi har udarbejdet den faglige vurdering af nusinersen (Spinraza). Som første led i vurderingen af nusinersen (Spinraza) udarbejdede fagudvalget en protokol, og derefter foretog de den faglige vurdering af lægemidlets kliniske merværdi. På baggrund heraf har fagudvalget udarbejdet en rapport til Rådet med fagudvalgets faglige vurderinger og forslag til kategorisering af lægemidlets kliniske merværdi.

Fagudvalget fremlagde denne rapport for Rådet på et rådsmøde den 16. august 2017. Her blev rapporten drøftet, og fagudvalgets forslag til kategorisering blev godkendt. Denne kategorisering indgik i grundlaget for Medicinrådets behandling af nusinersen (Spinraza) på rådsmødet den 12. oktober 2017, hvor Rådet konkluderede, at nusinersen (Spinraza) ikke anbefales som mulig standardbehandling.

Efterfølgende har fagudvalget afholdt endnu et møde og sendt et brev til Medicinrådet, som indgik i sagsakterne til Medicinrådets rådsmøde den 30. januar 2018, hvor Medicinrådet drøftede anbefalingen vedrørende nusinersen (Spinraza) på ny.