

# Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskelatrofi

## Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet finder, at der fortsat ikke er et rimeligt forhold mellem den dokumenterede effekt af nusinersen og ansøgers prisforlangende.

Under hensyntagen til alvorlighedsprincippet, finder Medicinrådet imidlertid, at der er grundlag for at anbefale ibrugtagning af nusinersen som mulig standardbehandling til følgende patientpopulationer, hvor der er evidens for effekt:

- 1) Præsymptomatiske spædbørn med 2-3 SMN2-kopier
- 2) Børn med SMA type 1, som opfylder følgende kriterier:
  - 2-3 SMN2-kopier
  - alder ved symptomdebut maks. 6 måneder
  - ikke er i permanent respirationsbehandling ved opstart af behandling
- 3) Børn med SMA type 2, som opfylder følgende kriterier:
  - mindst 2 SMN2-kopier
  - alder ved symptomdebut maks. 24 måneder
  - maks. 4 års sygdomsvarighed ved opstart af behandling
  - ingen assisteret ventilation udover natligt behov og mere end 95 % SaO<sub>2</sub> uden assisteret ventilation.

Nusinersen kan ikke anbefales som mulig standardbehandling til patienter med SMA generelt.

Ved SMA type 2 gælder særlige kriterier for opfølgning og ophør af behandlingen. Se *"Kriterier for ibrugtagning af nusinersen ved SMA type 2"*.

Yderligere oplysninger om Medicinrådets anbefaling findes i *"Baggrund for Medicinrådets anbefaling"* og *"Tillæg til Medicinrådets anbefaling"*.

## Om denne anbefaling

Medicinrådet har den 12. oktober 2017 og 30. januar 2018 anbefalet protokolleret ibrugtagning af nusinersen til en begrænset gruppe patienter med SMA type 1, samt til præsymptomatiske spædbørn. Medicinrådet har den 30. maj 2018 revurderet anbefalingen for patienter med SMA type 2 på baggrund af en gennemgang af det nu publicerede datagrundlag for denne patientgruppe.

## Sygdom og behandling

5q spinal muskelatrofi (SMA) er en arvelig muskelsvindsygdom, som oftest viser sig i den tidlige barndom. SMA forekommer i forskellige typer, som bl.a. afhænger af, hvornår symptomerne starter samt deres sværhedsgrad. For SMA type 1 svækkes musklerne i en sådan grad, at barnet aldrig kommer til at sidde selv, og de fleste dør, inden de er fyldt 2 år. Et barn med SMA type 2 kan oftest sidde selv og kan have normal levealder, men kommer aldrig til at gå. En mildere grad af sygdommen (type 3) kan opstå hos ældre børn.

## Om lægemidlet

Nusinersen markedsføres af Biogen under handelsnavnet Spinraza. Nusinersen indsprøjtes i hulrummet, som omgiver rygmarven, hvor det øger dannelsen af et protein (SMN), som er nødvendigt for funktionen af de nerveceller, der stimulerer musklerne og forhindrer, at musklerne svækkes. Der har ikke tidligere eksisteret lægemidler til behandling af sygdommen.

## Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at nusinersen til spinal muskelatrofi (SMA) giver:

- Vigtig klinisk merværdi for patienter med **SMA type 1**
- Vigtig klinisk merværdi hos **præsymptomatiske børn** med dokumenteret 5q SMA gendefekt, som tyder på SMA type 1 eller 2
- Lille klinisk merværdi for patienter med **SMA type 2**. En ny gennemgang af publicerede data indikerer dog, at nusinersen har en større klinisk merværdi hos patienter med SMA type 2, der starter behandlingen tidligt (< 24 måneder efter symptomdebut) sammenlignet med patienter, der starter behandlingen sent (> 44 måneder efter symptomdebut)
- Ikkedokumenterbar klinisk merværdi for patienter med **SMA type 3**.

Der er ikke aktuelt publicerede data om effekten af nusinersen udover 13-15 måneders behandling.

## Medicinrådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Ansøger sætter fortsat prisen for nusinersen urimeligt højt. Medicinrådet anbefaler derfor nusinersen som mulig standardbehandling til en begrænset patientgruppe, men ikke som mulig standardbehandling generelt til patienter med SMA.

## Overvejelser omkring alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet finder fortsat alvorlighedsprincippet vigtigt og relevant for vurderingen af nusinersen, men selv fuld anvendelse af dette perspektiv på problemstillingen kan ikke legitimere den meget høje pris.

## Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Nusinersen er den første medicinske behandling af 5q spinal muskelatrofi. Der findes derfor ingen tidligere behandlingsvejledning på området.

## Tilslutning til anbefalingen

Anbefalingen har tilslutning fra samtlige rådsmedlemmer.

## Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver merværdi for patienterne i forhold til eksisterende behandling, samt en vurdering af omkostningerne ved at anvende medicinen. Regionernes indkøbsorganisation Amgros forhandler en pris for medicinen med ansøgeren. På baggrund af den forhandlede pris vurderer Medicinrådet, om medicinens merværdi står mål med omkostningerne, herunder lægemidlets pris, og om medicinen derfor kan anbefales som standardbehandling.