

Baggrund for
Medicinrådets anbefaling
vedrørende inotersen til
behandling af arvelig
transthyretinmedieret
amyloidose med
polyneuropati stadie 1 og 2

Anb



Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner.

Medicinrådet vurderer, om nye lægemidler og indikationsudvidelser skal anbefales som mulig standardbehandling. Medicinrådet udarbejder også behandlingsvejledninger og rekommandationer for anvendelse af medicin på sygehusene. Derudover kan Medicinrådet tage andre typer sager op, der handler om medicinanvendelse.

Om baggrunden for Medicinrådets anbefaling

Baggrund for Medicinrådets anbefaling er en sammenfatning af lægemidlets værdi for patienterne, omkostninger for samfundet og en gengivelse af de vurderinger, der er grundlag for Medicinrådets anbefaling.

Anbefalingen er Medicinrådets vurdering af, om omkostningerne vedrørende brug af lægemidlet er rimelige, når man sammenligner dem med lægemidlets værdi for patienterne. I nogle tilfælde spiller sygdommens alvorlighed en særlig rolle i vurderingen.

Anbefalingen er et klinisk og økonomisk baseret råd til regionerne til brug for deres beslutning om at anvende et givet lægemiddel.

Læs eventuelt mere i Håndbog for Medicinrådets proces og metode vedr. nye lægemidler og indikationsudvidelser – version 2, som du kan finde på Medicinrådets hjemmeside under siden Metoder.

Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato	09. december 2020
------------------	-------------------

Dokumentnummer	99143
----------------	-------

Versionsnummer	1.0
----------------	-----



Indholdsfortegnelse

1.	Anbefaling vedrørende inotersen til behandling af arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2	3
2.	Medicinrådets konklusion vedrørende lægemidlets værdi.....	3
3.	Resultater af sundhedsøkonomiske analyser.....	3
4.	Alvorlighed	4
5.	Anbefalingen betyder	4
6.	Sagsbehandlingstid	4
7.	Kontaktinformation til Medicinrådet.....	4
8.	Versionslog	5
9.	Bilag	6

© Medicinrådet, 2020
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 9. december 2020



1. Anbefaling vedrørende inotersen til behandling af arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2

Medicinrådet anbefaler ikke inotersen til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

Inotersen er formentlig lidt bedre for patienterne end ingen behandling. Medicinrådet har lagt vægt på, at der er alvorlige bivirkninger forbundet med behandlingen.

Medicinrådet vurderer derfor, at omkostningerne forbundet med behandlingen er for høje i forhold til lægemidlets effekt og bivirkninger.

2. Medicinrådets konklusion vedrørende lægemidlets værdi

Medicinrådet vurderer, at inotersen til behandling af arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2, giver en merværdi af ukendt størrelse, som formentlig er lille, sammenlignet med placebo (ingen behandling).

Vurderingen er baseret på evidens af lav kvalitet.

Medicinrådet bemærker, at det er bekymrende, at der ses et øget antal dødsfald i inotersen-armen.

Høringen har ikke givet anledning til ændringer (se bilag 3).

Læs mere i Medicinrådets vurdering af lægemidlets værdi og den bagvedliggende protokol (se bilag 4 og bilag 7).

3. Resultater af sundhedsøkonomiske analyser

I Medicinrådets hovedanalyse bliver den inkrementelle omkostning pr. patient ca. 4,2 mio. kr. sammenlignet med ingen behandling for et gennemsnitligt behandlingsforløb. De årlige budgetkonsekvenser for sundhedsvæsenet i det 5. år vil være ca. 11,1 mio. kr. ved ibrugtagning af lægemidlet. Lægemiddelvirksomheden har dog givet en fortrolig rabat, og derfor er de reelle inkrementelle omkostninger og budgetkonsekvenser lavere. Beregningen af omkostningerne er forbundet med betydelige usikkerheder, og der er derfor lavet følsomhedsanalyser.



Læs mere i den sundhedsøkonomiske afrapportering (se bilag 1).

4. Alvorlighed

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effekttestimaterne, hvilket er forskelligt alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt at inddrage i denne sag.

5. Anbefalingen betyder

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til ikke at bruge inotersen til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

6. Sagsbehandlingstid

Medicinrådet har brugt 20 uger og 2 dage på arbejdet med inotersen til behandling af arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2. Der har været clockstop efter ønske fra ansøger.

7. Kontaktinformation til Medicinrådet

Medicinrådets sekretariat

Dampfærgevej 27-29, 3. th.

2100 København Ø

+ 45 70 10 36 00

medicinraadet@medicinraadet.dk



8. Versionslog

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	9. december 2020	Godkendt af Medicinrådet



9. Bilag

1. Medicinrådets sundhedsøkonomiske afrapportering vedr. inotersen, version 1.0
2. Forhandlingsnotat fra Amgros vedr. inotersen
3. Høringssvar fra ansøger, inkl. eventuel efterfølgende dialog
4. Medicinrådets vurdering vedr. inotersen til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2, version 1.0
5. Ansøgers endelige ansøgning
6. Ansøgers tekniske dokument til den sundhedsøkonomiske ansøgning
7. Medicinrådets protokol for vurdering vedr. inotersen til patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2, version 1.0

Medicinrådets sekretariat

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

+ 45 70 10 36 00

medicinraadet@medicinraadet.dk

www.medicinraadet.dk