

Mindretalsudtalelse fra Danske Patienter

8. rådsmøde i Medicinrådet d. 12.10.2017

- ifm. Medicinrådets anbefaling af nusinersen (Spinraza)

Medicinrådet har mulighed for at tage særlige forhold i betragtning, når en sygdom er sjælden, eller der er tale om en særlig grad af alvorlighed.

Alene af den grund, at spinal muskelatrofi er en irreversibel fremadskridende invaliderende sygdom, gør sygdommen til en alvorlig sygdom, hvor de almindelige kriterier for ibrugtagning af lægemidler bør fraviges.

Dette forhold forstærkes af, at sygdommen debuterer hos børn og unge. Det forstærkes yderligere af at sygdommen for visse grupper indebærer en markant risiko for tidlig død. Og dette forstærkes yderligere af, at der indtil nu ikke forefindes nogen anden form for behandling.

Der er derfor meget stærke argumenter for at godkende behandling af spinal muskelatrofi – selv på et svagere grundlag, end det der ellers forventes.

Der er gode indikationer for, at behandlingen har effekt. Konkrete eksempler, afprøvning i dyreforsøg og enkelte videnskabelige undersøgelser på patienter viser dette. Den foreliggende videnskabelige dokumentation for effekt af Nusinersen er imidlertid hverken med stærk evidens eller særligt fyldestgørende. Der er tale om en afprøvning på relativt få patienter og over en forholdsvis kort periode. Der er ingen særlige forhold, der kan begrunde, at producenten har undladt at foretage en bredere afprøvning. Dokumentationen er således ikke tilstrækkelig til normal ibrugtagning af Nusinersen som standardlægemiddel til alle patienter med spinal muskelatrofi.

Med den foreliggende dokumentation ville Medicinrådet – i lyset af alvorligheden af sygdommen m.v. – alt andet lige kunne have anbefalet en hurtig rutinemæssig – og på visse områder protokolleret – ibrugtagning af Nusinersen til spinal muskelatrofi.

Producenten har imidlertid valgt at fastsætte en pris, der overstiger hidtil kendte medicinpriser, og som ikke afspejler behovet for en bredere videnskabelig dokumentation og synes helt løsrevet fra de udviklingsomkostninger, der er forbundet med lægemidlet.

Ud fra en samlet vurdering anbefaler Danske Patienter en ibrugtagning til spinal muskelatrofi type 1 og som minimum en individuel anvendelse hos patienter med spinal muskelatrofi type 2 og type 3 særligt hos patienter med stor risiko for kraftig forværring eller livstruende tilstand. Der anbefales en systematisk indsamling af erfaring med patienter, der behandles.