

Referat af 43. rådsmøde i Medicinrådet – ekstraordinært virtuelt møde

Afholdt mandag den 29. juni 2020

Kl. 17.00-18.15

Tilstedeværende medlemmer af Rådet

Steen Werner Hansen (formand)

Jørgen Schøler Kristensen (formand)

Kim Brixen

Jens Friis Bak

Knut Borch-Johnsen

Dorte Lisbet Nielsen

Hanne Rolighed Christensen

Birgitte Klindt Poulsen

Lars Nielsen

Per Jørgensen

Dorte Gyrd-Hansen

Niels Obel

Morten Freil

Leif Vestergaard Pedersen

Observatører

Doris Hovgaard

Ida Sofie Jensen

Marie Louise Schougaard Christiansen

Lise Grove

Fraværende

Carl-Otto Gøtzsche

Henning Beck-Nielsen

Fra sekretariatet

Torben Klein, Birgit Mørup (referent), Diana Milling Olsen, Tenna Bekker, Annemette Anker Nielsen, Katrine Valbjørn Lund, Marie Louise Sjølie Thygesen, Alexandra Blok Filskov, Karen Agerbæk Jørgensen og Kathrine Juelsgaard Kenting

Ekstern konsulent: Jens Ersbøll

Medarbejdere i sekretariatet: Dorte Glintborg, Mark Friborg og Ditte Marie Irwin-Clugston

Formand Steen Werner Hansen bød velkommen til det 43. rådsmøde i Medicinrådet (ekstraordinært møde).

Punkt 1

Anbefaling: nusinersen (Spinraza) – spinal muskelatrofi (SMA)

Rådet havde drøftet sagen på rådsmøderne i april, maj og juni 2020.

På junirådsmødet havde flere af rådsmedlemmerne spørgsmål til vurderingerne af lægemidlets effekt på større børn og unge med spinal muskelatrofi (SMA). Rådet besluttede derfor på sidste møde, at det var nødvendigt at afklare disse spørgsmål med fagudvalget, før der kunne træffes en beslutning i sagen.

Repræsentanter fra Rådet havde siden da haft et møde med fagudvalget, og disse repræsentanter gav indledningsvist Rådet en tilbagemelding fra mødet med fagudvalget. Referat fra mødet (godkendt af mødedeltagerne) var desuden fremsendt til Rådet inden mødet. Repræsentanterne orienterede Rådet om, at der ikke var uenighed mellem Rådet og fagudvalget om de data, som fagudvalget har indsamlet fra studier af nusinersen. Men man ser forskelligt på, hvordan data skal tolkes. Den primære årsag er, at man ikke er enige om, hvorvidt patienterne ville have opnået det samme funktionsniveau eller funktionstab uden behandling. Diskussionen opstår, fordi de nye data er real-world-data, herunder data fra et opfølgingsstudie, hvilket betyder, at nusinersen ikke er sammenlignet med placebo-gruppe.

Sammenligningen med data fra historiske kontrolgrupper (data fra Mercuri 2016 og 2019) udfordres særligt af, at sygdommens spontanforløb ikke er ens i de forskellige aldersgrupper, og der er stor variation mellem patienterne. Derfor kan data for forskellige aldersgrupper ikke sammenlignes. Samtidig er opfølgningstiden i studierne af nusinersen meget kort set i lyset af, at der er tale om potentiel livslang behandling, og de forskelle, man diskuterer, er derfor meget små.

Rådet genoptog herefter sine drøftelser.

Rådsmedlemmerne fra Danske Patienter spurgte indledningsvist ind til de slides, som Rådet var blevet præsenteret for på det tidligere rådsmøde. Disse blev derfor rundsendt under mødet. En skematisk oversigt over de samme data blev desuden rundsendt forud for rådsmødet den 17. juni 2020.

En observatør stillede spørgsmålstegn til, hvorvidt Medicinrådets generelle processer var overholdt i denne sag, herunder om der er nye oplysninger i sagen, der burde have været forelagt virksomheden bag lægemidlet.

Rådsmedlem Hanne Rolighed Christensen, som havde udarbejdet de omtalte slides, forklarede, at der ikke var nye oplysninger i præsentationen, men at det alene gengav oplysninger fra de selvsamme studier, som indgik i fagudvalgets afrapportering. Rådet fik samtidig tilsendt de enkelte poster. Graferne fra en poster af CHERISH-SHINE-studiet fra april 2019, som var et centralt punkt i diskussionen, blev også præsenteret af fagudvalget ved Rådets møde i maj 2020. Medicinrådet har også tidligere modtaget posteren fra den ansøgende virksomhed. Endvidere har den ansøgende virksomhed forud for det ekstraordinære møde fremsendt en graf med længere opfølgningstid fra det samme studie. Den nye graf var også fremsendt til Rådet sammen med dagsordenen for mødet.

Rådet drøftede herefter, hvilken konklusion det kunne drage på baggrund af det tilvejebragte materiale.

En række rådsmedlemmer fandt, at drøftelserne med fagudvalget grundlæggende ikke ændrede deres holdning. Disse rådsmedlemmer mente ikke, at der er en rimelig sammenhæng mellem den sandsynliggjorte effekt og prisen. Disse rådsmedlemmer var derfor for at fastholde den nuværende anbefaling af nusinersen.

Rådsmedlemmerne fra Danske Patienter var ikke enige i disse betragtninger. De fandt, at fagudvalgets konklusion om, at der ser ud til at være effekt for ældre børn, bør føre til en udvidelse af anbefalingen.

Rådet drøftede herefter for og imod disse synspunkter og det forhold, at det ikke var muligt at komme til en fælles konklusion med fagudvalget. Rådet noterede sig i den forbindelse, at det ikke var et enigt fagudvalg, som var kommet med indstillingen. Danske Patienters repræsentanter lagde vægt på, at det kun var ét medlem af fagudvalget.

Rådet fandt, at der er stor usikkerhed forbundet med data i studierne. Og dermed også med den sandsynliggjorte effekt. Det er det, som Rådet er nødt til at afveje i forhold til prisen.

Rådsmedlemmerne fra Danske Patienter ønskede i den forbindelse ført til referat, at når man efter Danske Patienters opfattelse sammenholder de indhentede data med bedste data for det aldersbetingede spontane forløb, kan man finde dokumentation for den effekt, som fagudvalget redegør for i konklusionen.

Rådet fortsatte drøftelserne om effekt versus pris på lægemidlet, og Rådet drøftede i den forbindelse også fagudvalgets rapport. Rådet drøftede også på opfordring fra rådsmedlemmerne fra Danske Patienter anbefalingerne i andre lande end Danmark.

Rådet genbesøgte afslutningsvis den oprindelige protokol og vurdering og fandt, at Rådets tidligere vurdering af den kliniske merværdi fortsat skulle lægges til grund i sagen.

Et flertal i Rådet var på den baggrund enige om følgende konklusion (som er godkendt efterfølgende af Rådet i skriftlig procedure):

Medicinrådet har i dag besluttet ikke at ændre sin nuværende anbefaling af nusinersen. Det sker, fordi Rådet, efter en nøje gennemgang af de nye data som fagudvalget har indsamlet, fortsat ikke kan finde evidens for, at en større patientgruppe vil have gavn af behandlingen.

Set i lyset heraf er prisen for nusinersen fortsat for høj.

Rådsmedlemmerne fra Danske Patienter ønskede ikke at bakke op om konklusionen, men udarbejdede efter rådsmødet følgende mindretalsudtalelse som de anmodede om at få medtaget i referatet:

”Danske Patienter finder, at kliniske erfaringer og Mercuri (2019) viser at børn og unge med SMA efter 5-års alderen taber funktionsevne. Real-world-data og et opfølgingsstudie viser at behandlingen med nusinersen ret hurtigt ændrer denne udvikling for en del af patienterne. Der er således en dokumenteret effekt.

Danske Patienter finder det i øvrigt bemærkelsesværdigt, at Medicinrådet som det eneste prioriteringsinstitut er nået frem til en konklusion om, at der ikke er evidens for at nusinersen har effekt for en større patientgruppe.

Medicinrådet har således uden nogen faglig redegørelse - på tværs af rådets egne eksperter og den almindelige kliniske opfattelse blandt eksperter i Europa – besluttet, at der ikke er evidens for at udvide behandlingstilbuddet til hele børne- og ungegruppen. Det indebærer at den gruppe af børn og unge med SMA, der i dag ikke får tilbudt behandlingen i Danmark heller ikke fremover vil få tilbudt behandlingen, selv ved en yderligere reduktion i prisen på nusinersen.

Danske Patienter er uenige i denne tilsidesættelse af faglige eksperters vurdering og i at den relevante patientgruppe som følge heraf ikke får tilbudt behandling”.

Følgende er tilføjet efter rådsmødets afholdelse:

[Formandskabet bemærker til påstandene i mindretalsudtalelsen fra Danske Patienter;

1) At den nævnte artikel af Mercuri 2019 kan ikke alene tages som udtryk for sygdommens spontanforløb og 2) Flere andre lande har, ligesom Danmark, begrænset anbefalingen ift. alder eller andre kriterier. Det gælder eksempelvis Norge, Sverige, Finland, Island, England, Grækenland, Canada, Australien og New Zealand].

Rådet var endeligt enigt om, at fagudvalgets rapport også skal offentliggøres. Rapporten vedhæftes referatet som bilag.

Rådet genoptager sagen, såfremt der publiceres nye substantielle data, eller Biogen tilbyder en ny pris.

Punkt 2

Eventuelt

Intet.

Næste rådsmøde i Medicinrådet afholdes onsdag den 26. august 2020.