

28. rådsmøde i Medicinrådet

Onsdag d. 15. maj 2019

1. Godkendelse af dagsorden
2. Godkendelse af referat
3. Betragtninger baseret på det seneste års observationer
4. Behandling af høringssvar: durvalumab (Imfinzi) – lungekræft stadie III
5. Protokol: ER+/HER2 - lokalt fremskreden eller metastatisk brystkræft
6. Medicinrådets regnskab 2018, og ressourcer til behandlingsvejledninger
7. Evalueringen af Medicinrådet – budskaber fra Rådet til Danske Regioner
8. Vurdering af lægemidlets værdi: voretigene neparvovec (Luxturna) – arvelig RPE65- relateret nethindedystrofi
9. Habilitet – kongresdeltagelse betalt af hospitalspulje
10. Opfølgning på skriftlig høring vedrørende habilitet
11. Behandlingsvejledning: knoglemarvskræft (myelomatose)
12. Vurdering af lægemidlets værdi: emicizumab (Hemlibra) – hæmofili A uden inhibitor
13. Behandlingsvejledning: hæmofili A
14. Anbefaling: axicabtagene ciloleucel (Yescarta) – diffust storcellet B-celle lymfom
15. RADS – lægemiddelrekommandation: hiv/aids
16. Formandskabets meddelelser
17. Skriftlig orientering
18. Eventuelt

Bilagsoversigt

Ad punkt 1: Godkendelse af dagsorden

- Dagsorden inkl. tidsplan - 28. rådsmøde i Medicinrådet - 15.05.2019 - opd. 08.05.2019
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Sagsoversigt inkl. tidsplan – 28. rådsmøde i Medicinrådet – 15.05.2019 – opd. 08.05.2019
- *Internt dokument – offentliggøres ikke*

Ad punkt 2: Godkendelse af referat

- Referat – 27. rådsmøde i Medicinrådet – 10.04.2019
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk

Ad punkt 3: Betragtninger baseret på det seneste års observationer

- Ingen bilag

Ad punkt 4: Behandling af høringssvar: durvalumab (Imfinzi) – lungekræft stadie III

- Sagsforelæggelse vedr. høringssvar for vurdering af klinisk merværdi af durvalumab til ikke-småcellet lungekræft
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Bilag 1: Medicinrådets protokol for vurdering af klinisk merværdi for durvalumab til behandling af ikkesmåcellet lungekræft i stadie III - version 1.0
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk
- Bilag 2: Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi for durvalumab til behandling af ikkesmåcellet lungekræft i stadie III-version 1.0
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk
- Bilag 3: Høringssvar for vurderingsrapporten for durvalumab fra Astra Zeneca (ansøger)
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling

Ad punkt 5: Protokol: ER+/her2 - lokalt fremskreden eller metastatisk brystkræft

- Udkast til Medicinrådets protokol for behandlingsvejledning vedrørende CDK4/6-hæmmere til ER+/HER2- lokalt fremskreden eller metastatisk brystkræft – version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling

Ad punkt 6: Medicinrådets regnskab 2018, og ressourcer til behandlingsvejledninger

- Sagsforelæggelse om Medicinrådets økonomi - regnskab 2018 og ekstra bevilling
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Bilag 1-2 (Regnskab 2018 og status på arbejdet med behandlingsvejledninger)
Er offentliggjort på www.regioner.dk og www.medicinraadet.dk

Ad punkt 7: Evalueringen af Medicinrådet – budskaber fra Rådet til Danske Regioner

- Ingen bilag

Ad punkt 8: Vurdering af lægemidlets værdi: voretigene neparvovec (Luxturna) – arvelig RPE65- relateret nethindedystrofi

- Udkast: Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi for voretigene neparvovec til behandling af arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi – vers. 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Medicinrådets protokol for vurdering af voretigene neparvovec til behandling af arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi – vers. 1.0
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk
- Svarark til godkendelse af protokol
Internt dokument – offentliggøres ikke

Artikler:

- **Artikel 1** - Efficacy and safety of voretigene neparvovec (AAV2_hRPE65v2) in patients with RPE65-mediated inherited retinal dystrophy: a randomized, controlled, open-label, phase 3 trial. Russel S. et al, Lancet 2017
- **Artikel 2** - Age-dependent effects of RPE65 gene therapy for Leber's congenital amaurosis: a phase 1 dose-escalation trial. Maguire AM et al, Lancet 2009
- **Artikel 3** - Safety and durability of effect of contralateral-eye administration of AAV2 gene therapy in patients with childhood-onset blindness caused by RPE65 mutations: a follow-on phase 1 trial. Bennett et al, Lancet 2016
- **Artikel 4** - Voretigene neparvovec-rzyl for the treatment of biallelic RPE65 mutation associated retinal dystrophy. Russell et al, Expert Opinion on Orphan Drugs, 2018

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres

Ad punkt 9: Habilitet – kongresdeltagelse betalt af hospitalspulje

- Sagsforelæggelse vedr. kongresser betalt fra hospitalspulje
Internt dokument – offentliggøres ikke

Ad punkt 10: Opfølgning på skriftlig høring vedrørende habilitet

- Skriftlig høring fremsendt til Rådet d. 29. april 2019 vedr. indstilling af formand samt kommissorium for Medicinrådets fagudvalg vedr. Føllings sygdom (fenyktonuri)
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Sammendrag af Rådets tilbagemeldinger
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Udkast til kommissorium for Medicinrådets fagudvalg vedr. Føllings sygdom (fenyktonuri) vers. 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling

Ad punkt 11: Behandlingsvejledning: knoglemarvskræft (myelomatose)

- Sagsforelæggelse vedr. behandlingsvejledning for knoglemarvskræft (myelomatose)
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Udkast til Medicinrådets gennemgang af terapiområdet knoglemarvskræft (myelomatose)
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Udkast til baggrund for Medicinrådets gennemgang af terapiområdet knoglemarvskræft (myelomatose) – version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Protokol for udarbejdelse af fælles regional behandlingsvejledning vedrørende knoglemarvskræft (myelomatose) – version 1.0
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk
- Rådets spørgsmål og kommentarer til FU vedr. behandlingsvejledning for knoglemarvskræft (myelomatose)
Internt dokument – offentliggøres ikke

Ad punkt 12: Vurdering af lægemidlets værdi: emicizumab (Hemlibra) – hæmofili A uden inhibitor

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi for emicizumab til behandling af hæmofili A
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Medicinrådets protokol for vurdering af merværdi for emicizumab til behandling af hæmofili A
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk
- Svarark til godkendelse af protokol
Internt dokument – offentliggøres ikke

Artikler:

- **Artikel 1:** Mahlangu J, Oldenburg J, Paz-Priel I, Negrier C, Niggli M, Mancuso ME, et al. Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors. *N Engl J Med.* 2018;379(9):811–22.
- **Artikel 2:** Saxena K, Lalezari S, Oldenburg J, Tseneklidou-Stoeter D, Beckmann H, Yoon M, et al. Efficacy and safety of BAY 81-8973, a full-length recombinant factor VIII: results from the LEOPOLD I trial. *Haemophilia.* 2016;22(5):706–12.
- **Artikel 3:** Mahlangu J, Powell JS, Ragni M V., Chowdary P, Josephson NC, Pabinger I, et al. Phase 3 study of recombinant factor VIII Fc fusion protein in severe hemophilia A. *Blood* [internet]. 2014;123(3):317–25. Tilgængelig fra: <http://www.bloodjournal.org/cgi/doi/10.1182/blood-2013-10-529974>

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres

Ad punkt 13: Behandlingsvejledning: hæmofili A

- Sagsforelæggelse vedr. behandlingsvejledning for hæmofili A
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Tidligere sagsfremlæggelse til formandskabet vedr. inklusion af turoctocog alfa pegol i den igangværende behandlingsvejledning for hæmofili A udenom processen for nye lægemidler

Internt dokument – offentliggøres ikke

- Udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til hæmofili A – vers. 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Udkast til baggrund for Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til hæmofili A - vers. 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Protokol for behandlingsvejledning for hæmofili A – vers. 1.0.
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk

Artikler:

- **Artikel 1.** Giangrande P, Andreeva T, Chowdary P, Ehrenforth S, Hanabusa H, Leebeek FWG, et al. Clinical evaluation of glycoPEGylated recombinant FVIII: Efficacy and safety in severe haemophilia Thromb Haemost. 2016;117(02):252–61.
- **Artikel 2.** Reding MT, Ng HJ, Poulsen LH, Eyster ME, Pabinger I, Shin HJ, et al. Safety and efficacy of BAY 94-9027, a prolonged-half-life factor VIII. J Thromb Haemost. 2017;15(3):411–9.
- **Artikel 3.** Konkle BA, Stasyshyn O, Chowdary P, Bevan DH, Mant T, Shima M, et al. Pegylated, fulllength, recombinant factor VIII for prophylactic and on-demand treatment of severe hemophilia A. Blood [internet]. 2015;126(9):1078–85. Tilgængelig fra: <http://www.bloodjournal.org/cgi/doi/10.1182/blood-2015-03-630897>
- **Artikel 4.** Stasyshyn O, Djambas Khayat C, Iosava G, Ong J, Abdul Karim F, Fischer K, et al. Safety, efficacy and pharmacokinetics of rVIII-SingleChain in children with severe hemophilia A: results of a multicenter clinical trial. J Thromb Haemost. 2017;15(4):636–44.
- **Artikel 5.** Mahlangu J, Kuliczowski K, Karim FA, Stasyshyn O, Kosinova M V., Lepatan LM, et al. Efficacy and safety of rVIII-SingleChain: results of a phase 1/3 multicenter clinical trial in severe hemophilia A. Blood. 2016;128(5):630–7.
- **Artikel 6.** Mahlangu J, Powell JS, Ragni M V., Chowdary P, Josephson NC, Pabinger I, et al. Phase 3 study of recombinant factor VIII Fc fusion protein in severe hemophilia A. Blood [internet]. 2014;123(3):317–25. Tilgængelig fra: <http://www.bloodjournal.org/cgi/doi/10.1182/blood-2013-10-529974>
- **Artikel 7.** Saxena K, Lalezari S, Oldenburg J, Tseneklidou-Stoeter D, Beckmann H, Yoon M, et al. Efficacy and safety of BAY 81-8973, a full-length recombinant factor VIII: results from the LEOPOLD I trial. Haemophilia. 2016;22(5):706–12.
- **Artikel 8.** Keepanasseril A, Stoffman J, Bouskill V, Carcao M, Iorio A, Jackson S. Switching to extended half-life products in Canada - preliminary data. Haemophilia. 2017;23(4):e365–7.
- **Artikel 9.** Dubé E, Bonnefoy A, Merlen C, Castilloux JF, Cloutier S, Demers C, et al. A prospective surveillance study of inhibitor development in haemophilia A patients following a population switch to a third-generation B-domain-deleted recombinant factor VIII. Haemophilia. 2018;24(2):236–44.
- **Artikel 10.** Aznar JA, Moret A, Ibáñez F, Vila C, Cabrera N, Mesa E, et al. Inhibitor development after switching of FVIII concentrate in multitransfused patients with severe haemophilia A. Haemophilia. 2014;20(5):624–9.
- **Artikel 11.** Mahlangu J, Oldenburg J, Paz-Priel I, Negrier C, Niggli M, Mancuso ME, et al. Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors. N Engl J Med. 2018;379(9):811–22.

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres

Ad punkt 14: Anbefaling: axicabtagene ciloleucel (Yescarta) – diffust storcellet B-celle lymfom

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende axicabtagene ciloleucel som mulig standardbehandling til diffust storcellet B-celle-lymfom – vers. 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Udkast til Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedrørende axicabtagene ciloleucel som mulig standardbehandling til diffust storcellet B-celle-lymfom – vers. 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling
- Svarark til godkendelse af protokol for axicabtagene ciloleucel (Yescarta)
Internt dokument – offentliggøres ikke

Bilag til baggrund for anbefalingen:

- Bilag 1 - Amgros' beslutningsgrundlag for axicabtagene ciloleucel (Yescarta)
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling
- Bilag 1a - Amgros' beslutningsgrundlag for axicabtagene ciloleucel (Yescarta)
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke
- Bilag 2 - Amgros' sundhedsøkonomiske analyse for axicabtagene ciloleucel (Yescarta)
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling
- Bilag 2a - Amgros' sundhedsøkonomiske analyse for axicabtagene ciloleucel (Yescarta)
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke
- Bilag 3 - Høringssvar fra ansøger vedr. axicabtagene ciloleucel (Yescarta)
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling
- Bilag 4 - Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi for axicabtagene ciloleucel til behandling af diffust storcellet B-celle-lymfom – vers. 1.1
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk
- Bilag 5 - Ansøgers endelige ansøgning vedr. axicabtagene ciloleucel (Yescarta)
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling
- Bilag 6 - Protokol for Medicinrådet vurdering af klinisk merværdi for axicabtagene ciloleucel til behandling af diffust storcellet B-celle-lymfom – vers. 1.0
Er offentliggjort på www.medicinraadet.dk

Artikler:

- **Artikel 1** – ZUMA-1: Locke et al. Long-term safety and activity of axicabtagene ciloleucel in refractory large B-cell lymphoma (ZUMA-1): a single-arm, multicentre, phase 1-2 trial. *Lancet Oncol.* 2018
- **Artikel 2** - CORAL EXT-1: Van Den Neste et al. Outcomes of diffuse large B-cell lymphoma patients relapsing after autologous stem cell transplantation: An analysis of patients included in the CORAL study. *Bone Marrow Transplant.* 2017;52(2):216–21.
- **Artikel 3** - CORAL EXT-2: Van Den Neste et al. Outcome of patients with relapsed diffuse large B-cell lymphoma who fail second-line salvage regimens in the International CORAL study. *Bone Marrow Transplant.* 2016;51(1):51–7.

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres

Ad punkt 15: RADS – lægemiddelrekommandation: hiv/aids

- Sagsforelæggelse vedr. behandlingsvejledning inklusive lægemiddelrekommandation for terapiområdet hiv/aids

Internt dokument – offentliggøres ikke

Ad punkt 16: Formandskabets meddelelser

- Ingen bilag

Ad punkt 17: Skriftlig orientering

- Oversigt over terapiområder pr. maj 2019
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Oversigt over nye lægemidler pr. maj 2019
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Oversigt over anbefalede lægemidler med lægemiddelpriser pr. maj 2019
Internt dokument – offentliggøres ikke
- Oversigt over Medicinrådets fagudvalg - (regionsudpegninger pr. maj 2019)

Ad punkt 18: Eventuelt

- Ingen bilag

Regionsudpegninger af fagudvalgsmedlemmer pr. maj 2019 (antal medlemmer pr. region)					
Fagudvalg	Region Nordjylland	Region Midtjylland	Region Syddanmark	Region Sjælland	Region Hovedstaden
Akut leukæmi	0	2	1	1	2
Antibiotika (RADS)	1	0	1	1	0
Arveligt angioødem	0	1	1	0	0
Atopisk eksem	0	1	1	0	1
Behandling med immunoglobuliner	0	1	1	1	1
Benign hæmatologi	1	1	1	1	0
Blære- og urotelialkræft	0	0	1	1	1
Blødersygdom	0	2	1	1	1
Brystkræft	1	1	1	0	0
Duchennes muskeldystrofi	1	1	1	1	1
Gigtsygdomme	1	1	1	1	1
Hiv/aids	0	1	1	1	1
Hoved- og halskræft	1	1	1	1	0
Inflammatoriske tarmsygdomme	1	1	1	1	1
Knoglemarvskræft (myelomatose)	1	1	1	1	1
Kronisk lymfatisk leukæmi (CLL)	1	1	1	0	0
Kræft i blærehalskirtlen	0	2	2	2	1
Kræft i mavesæk og mavemund	1	1	1	1	1
Kræft i æggestokkene	0	1	0	0	0
Leverbetændelse	1	1	1	1	1
Leverkræft	0	1	1	1	1
Lipidforstyrrelser (dyslipidæmi)	1	1	1	1	1
Lungeemfysem	1	1	1	1	1
Lungekræft	1	1	1	1	1
Lymfekræft (lymfomer)	2	1	1	1	2
Migræne	1	0	1	0	1
Modermærkekræft og non-melanom hudkræft	1	1	1	0	1
Multipel sklerose	0	1	1	1	1
Neuroblastom	0	1	2	0	1
Neuroendokrine tumorer	1	1	1	0	1
Nyrekræft	1	1	1	1	1
Nyresygdomme	0	1	1	1	1
Psoriasis og psoriasis med ledgener	0	1	1	0	1
Sjældne knoglemetaboliske sygdomme	0	1	1	0	1
Spinal muskelatrofi	1	2	1	1	1
Svær astma	0	1	1	1	1
Transthyretin amyloidose	1	1	1	1	1
Tyk- og endetarmskræft	1	1	1	1	1
Øjensygdomme	1	1	1	1	1

Biosimilære lægemidler er ikke på listen, da regionerne ikke udpeger hertil

Under udpegning

Har ikke specialet / Kan ikke finde en egnet kandidat / Ønsker ikke at deltage i fagudvalget