

Medicinrådets anbefaling vedrørende onasemnogene abeparvovec til behandling af spinal muskelatrofi

MEDICINRÅDET ANBEFALER

onasemnogene abeparvovec til spædbørn med spinal muskelatrofi, fordi Medicinrådet vurderer, at behandlingen samlet set er lige så god som nusinersen, som er den behandling, patienterne får i dag.

Onasemnogene abeparvovec gives kun en eneste gang, mens nusinersen gives vedvarende hver 4. måned. Det betyder, at omkostningerne per patient til de to behandlinger udlignes efter en årrække. Med de nuværende forudsætninger er denne periode mellem 8 og 15 år, men der er en betydelig usikkerhed.

Anbefalingen omfatter spædbørn med SMA type 1, der får behandlingen, inden de bliver seks måneder, og ikke er i permanent ventilationsbehandling i mere end 16 timer/døgn. Anbefalingen omfatter også spædbørn, der er født med sygdommen, men endnu ikke har haft symptomer.

Børn ældre end seks måneder er oftest allerede velbehandlet med nusinersen. Skift til onasemnogene abeparvovec kan overvejes i særlige tilfælde, f.eks. hvis barnet har bivirkninger eller komplikationer forbundet med administrationen af nusinersen, og forudsat at barnet vejer under 13,5 kg, ikke er udtalt muskelsvækket og kan trække vejret selv.

Medicinrådet anbefaler ikke, at man kombinerer nusinersen og onasemnogene abeparvovec (dvs. tillægger nusinersen efter onasemnogene abeparvovec eller fortsætter med nusinersen efter onasemnogene abeparvovec).

Datagrundlaget for onasemnogene abeparvovec er sparsomt. Der er stor usikkerhed om langtidseffekten, og Medicinrådet er fortsat bekymret for alvorlige bivirkninger. Derfor beder Medicinrådet ansøger om at fremsende data fra de igangværende opfølgingsstudier senest om to år. Medicinrådet anmoder herudover de behandlende læger om at opsamle information om de danske patienter, der starter behandling med onasemnogene abeparvovec.



VÆRDI FOR PATIENTERNE

Medicinrådet vurderer, at onasemnogene abeparvovec og nusinersen er ligeværdige behandlingsalternativer, selvom værdien af onasemnogene abeparvovec ikke kan kategoriseres efter Medicinrådets metoder. Det betyder, at onasemnogene abeparvovec ikke vurderes at være bedre eller dårligere end nusinersen, som er den behandling, patienterne bliver tilbudt i dag.

Begge lægemidler kan forbedre patientens funktionsniveau. Især når behandlingen gives, inden patienten har symptomer, eller meget tidligt i sygdomsforløbet, men ingen af dem helbreder sygdommen. Der er ikke dokumentation for, at patienterne opnår mere effekt ved at kombinere de to behandlinger – altså tillægge nusinersen efter onasemnogene abeparvovec eller fortsætte med nusinersen efter onasemnogene abeparvovec.

Medicinrådets vurdering omfatter spædbørn med klinisk SMA type 1, som ikke er i permanent ventilationsbehandling og starter behandling inden seks månedersalderen samt præsymptomatiske spædbørn med mindst to SMN2-kopier. Der er endnu ingen data for ældre børn eller patienter med SMA type 2 og 3.

Der er fordele og ulemper ved begge behandlinger. Det er en fordel, at onasemnogene abeparvovec kun skal gives én gang. Til gengæld er det ikke muligt at stoppe behandlingen igen, hvis der senere skulle opstå bivirkninger. Nusinersen er potentielt en livslang behandling, der hver 4. måned bliver indsprøjtet i det hulrum, som omgiver rygmærven, hvilket i sig selv kan medføre gener og bivirkninger for patienten.

Ved behandling med onasemnogene abeparvovec er der set sjældne, men alvorlige og livstruende bivirkninger i form af trombotisk mikroangiopati.

Medicinrådet lægger i vurderingen vægt på, at der er stor usikkerhed om langtidseffekt og langtidsbivirkninger. Vurderingen er baseret på et yderst begrænset datagrundlag. Medicinrådet opfordrer derfor firmaet til at levere nye substantielle data for både effekt og bivirkninger.

OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Omkostningerne per patient for onasemnogene abeparvovec og nusinersen vil være ens ved omtrent ni år.

Det forudsætter dog, at patienterne ikke på et senere tidspunkt modtager anden lægemiddelbehandling mod spinal muskelatrofi.

Budgetkonsekvenserne er fortrolige, da beregningerne bygger på patientantal under fem patienter.

Rådets beslutning er truffet på baggrund af priser på lægemidlerne, som Amgros har forhandlet med lægemiddelfirmaerne.

De forhandlede priser er fortrolige efter firmaernes ønske, og derfor må Medicinrådet ikke offentliggøre hverken de reelle priser eller omkostninger.



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 effektestimaterne, 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 i denne sag, hvor patienterne i forvejen bliver tilbudt en effektiv behandling.

ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til at bruge onasemnogene abeparvovec til spædbørn med spinal muskelatrofi, men ikke nødvendigvis som førstevalg til alle patienter.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	26. maj 2021	Godkendt af Medicinrådet.

Om Medicinrådets anbefaling