

# Medicinrådets anbefaling vedrørende fenfluramin til behandling af Dravet syndrom

## MEDICINRÅDET ANBEFALER

fenfluramin som tillægsbehandling til patienter med Dravet syndrom, der får standardbehandling med clobazam og/eller valproat, og som enten behandles eller tidligere har været i behandling med stiripentol.

Behandlingen med fenfluramin skal igangsættes, mens patienten er i alderen 2 til 18 år.

Medicinrådet vurderer, at fenfluramin hos børn og unge reducerer antallet af anfald betydeligt. Samtidig får patienterne ikke flere bivirkninger, sammenlignet med den behandling, man bruger i dag.

Omkostningerne til behandling med fenfluramin er rimelige, når den kliniske effekt tages i betragtning.

Anbefalingen gælder for patienter med mindst fire månedlige konvulsive anfald (anfald med kramper).

Behandlingskriterier er angivet i Medicinrådets opstarts- og stopkriterier for fenfluramin til behandling af Dravet syndrom.

Medicinrådet anbefaler ikke opstart af fenfluramin til voksne patienter (> 18 år), fordi den kliniske effekt og bivirkningerne ved brug af fenfluramin ikke er undersøgt hos denne patientgruppe.

---

## VÆRDI FOR PATIENTERNE

Hos patienter, der modtager clobazam og/eller valproat samt stiripentol, giver tillæg af fenfluramin en moderat merværdi, sammenlignet med standardbehandling alene. Det betyder, at tillæg af fenfluramin samlet set er noget bedre for patienterne end den behandling, man bruger i dag. Medicinrådet har lagt vægt på, at tillæg med fenfluramin reducerer antallet af anfald, samtidig med at patienterne ikke får flere bivirkninger eller dårligere livskvalitet, når man sammenligner med den behandling, man bruger i dag.

Hos patienter, der er i behandling med clobazam og/eller valproat uden tillæg af stiripentol, kan værdien af at tillægge fenfluramin i stedet for stiripentol ikke kategoriseres efter Medicinrådets metoder. Medicinrådet vurderer dog, at patienter, der får fenfluramin som tillægsbehandling, ikke ser ud til at have dårligere effekt eller får flere bivirkninger, end patienter, der får stiripentol som tillægsbehandling.



Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af fenfluramin med den behandling, man bruger i dag, er meget lav. Det betyder, at nye studier med høj sandsynlighed kan ændre konklusionen.

## OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Medicinrådet har vurderet, at det vil koste ca. 2,2 mio. kr. mere at behandle én patient med tillæg af fenfluramin til clobazam og/eller valproat og stiripentol. Medicinrådet har også vurderet, at regionerne vil skulle bruge 6,8 mio. kr. mere i det femte år efter en evt. anbefaling.

Beløbene er baseret på de officielle listepreiser for lægemidlerne. 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.

## ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til at bruge fenfluramin som tillægsbehandling til patienter med Dravet syndrom, som ikke opnår tilstrækkelig effekt ved behandling med clobazam og/eller valproat, og som enten er i aktiv behandling eller tidligere har afprøvet behandling med stiripentol.

Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside.

### Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	23. marts 2022	Godkendt af Medicinrådet.

#### Om Medicinrådets anbefaling