

Dagsorden

Mødetitel	53. rådsmøde i Medicinrådet
Dato	23.03.2021 + 24.03.2021 (todelt – virtuelt møde)

Dagsorden – tirsdag d. 23. marts 2021 (1. del)

1. Godkendelse af dagsorden
2. Godkendelse af referat
3. Brigatinib (Alunbrig) - ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, 1.linje
(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)
4. Anbefaling: Darolutamid (Nuqeba) - Ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakkræft (nmCRPC)
5. Anbefaling: Revurdering: lorlatinib (Lorviqua) - ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft
6. Anbefaling: Entrectinib (Rozlytrek) - ROS1 ikke-småcellet lungekræft
7. Anbefaling: Entrectinib (Rozlytrek) - NTRK-fusion positive solide tumorer
8. Cabotegravir (rilpivirine) – hiv-1-infektion
(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

Dagsorden – onsdag d. 24. marts 2021 (2. del)

1. Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) - 5q spinal muskeltrofi
(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)
2. Omkostningsanalyse (tidligere udvidet sammenligningsgrundlag): Attakvis multipel sklerose
3. RADS - lægemiddelrekommandation: væksthormon
4. Filgotinib (Jyseleca) - kronisk leddegigt
(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)
5. Egen drift: Idebenon (Raxone) - Lebers hereditære opticus-neuropati
(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)
6. Pegvaliase (Palynziq) - phenylketonuri (PKU)
(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)
7. Afamelanotid (Scenesse) - erythropoietisk protoporfyri
(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)
8. Oplæg om betingede anbefalinger

9. Evt. opsamling på sagerne fra møde del 1 - tirsdag d. 23. marts 2021
10. Formandskabets meddelelser
11. Skriftlig orientering
12. Eventuelt

Bilagsoversigt – tirsdag d. 23. marts 2021

Ad punkt 1: Godkendelse af dagsorden

- Dagsorden inkl. tidsplan .53. rådsmøde i Medicinrådet – 23 + 24.03.2021
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Ad punkt 2: Godkendelse af referat

- Referat – 52. rådsmøde i Medicinrådet – 24.02.2021
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

Ad punkt 3: Brigatinib (Alunbrig) - ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, 1.linje

(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

- Sagsforelæggelse vedr. sekventiel behandling med ALK-hæmmere
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets vurdering vedr. brigatinib til førstelinjebehandling af uhelbredelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser vedr. brigatinib til førstelinjebehandling af uhelbredelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 1.0
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Medicinrådets protokol for vurdering af brigatinib til førstelinjebehandling af uhelbredelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

Artikler:

- Artikel 1 - Camidge DR et al. Brigatinib Versus Crizotinib in Advanced ALK Inhibitor–Naive ALK-Positive Non–Small Cell Lung Cancer: Second Interim Analysis of the Phase III ALTA-1L Trial. J Clin Oncol. 2020;38(31)
- Artikel 2 – Mok et al. Updated overall survival and final progression-free survival data for patients with treatment-naive advanced ALK-positive non-small-cell lung cancer in the ALEX study. Ann Oncol. 2020;31(8)
- Artikel 3 - Gadgeel S et al. Alectinib versus crizotinib in treatment-naive anaplastic lymphoma kinase-positive (ALK+) non-small-cell lung cancer: CNS efficacy results from the ALEX study. Ann Oncol. 2018;29(11)
- Artikel 4 - Peters et al. Alectinib versus Crizotinib in Untreated ALK-Positive Non-Small-Cell Lung Cancer. N Engl J Med. 2017;377(9)
- Artikel 5 - Zhou C et al. Alectinib versus crizotinib in untreated Asian patients with anaplastic lymphoma kinase-positive non-small-cell lung cancer (ALESIA): a randomised phase 3 study. Lancet Respir Med [internet]. 2019;7(5):437–46
På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 4: Anbefaling: Darolutamid (Nuqeba) – Ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakræft (nmCRPC)

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. darolutamid til behandling af ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Svarark til godkendelse af protokol vedr. darolutamid til behandling af ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Sagsforelæggelse til anbefaling vedr. darolutamid til behandling af ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Bilag til baggrund for anbefalingen:

- Bilag 1 - Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske afrapportering vedr. darolutamid, version 1.0
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 2 - Forhandlingsnotat fra Amgros vedr. darolutamid til behandling af højrisiko ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 3 - Høringssvar fra ansøger
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 4 – Medicinrådets vurdering vedr. darolutamid til behandling af højrisiko ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Bilag 5 - Ansøgers endelige ansøgning
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 6 - Medicinrådets protokol for vurdering vedr. darolutamid til behandling af højrisiko ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

Artikler:

- Artikel 1 - Fizazi K, Shore N, Tammela TL, Ulys A, Vjaters E, Polyakov S, et al. Darolutamide in Nonmetastatic, Castration-Resistant Prostate Cancer. *N Engl J Med.* 2019;380(13):1235–46.
 - Artikel 2 - Fizazi K, Shore N, Tammela TL, Ulys A, Vjaters E, Polyakov S, et al. Nonmetastatic, Castration-Resistant Prostate Cancer and Survival with Darolutamide. *N Engl J Med.* 2020;383(11):1040–9.
- På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

Ad punkt 5: Anbefaling: Revurdering: lorlatinib (Lorviqua) - ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft

- Sagsforelæggelse vedr. anbefaling af lorlatinib og mulighed for sekventiel behandling med ALK-hæmmere
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. lorlatinib til behandling af uhelbredelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 2.0
Sag i proces - endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.

- Svarark til godkendelse af protokol vedr. lorlatinib til behandling af uheldelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Bilag til baggrund for anbefalingen:

- Bilag 1 - Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske afrapportering vedr. lorlatinib, version 2.0
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 2 - Forhandlingsnotat fra AmgroS vedr. lorlatinib
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 3 - Høringssvar fra ansøger, inkl. eventuel efterfølgende dialog vedr. lægemidlets værdi
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 4 – Medicinrådets vurdering vedr. lorlatinib til behandling af uheldelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 2.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Bilag 5 - Ansøgers endelige ansøgning
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 6 - Ansøgers tekniske dokument til den sundhedsøkonomiske ansøgning
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 7 - Medicinrådets protokol for vurdering vedr. lorlatinib til behandling af uheldelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 1.1
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Bilag 8 - Ansøgers tillæg til den oprindelige ansøgning: *“Application for the assessment of Lorviqua for the treatment of adult patients with anaplastic lymphoma kinase (ALK)-positive advanced non-small cell lung cancer (NSCLC) whose disease has progressed after: alectinib or ceritinib as the first ALK tyrosine kinase inhibitor (TKI) therapy; or crizotinib and at least one other ALK TKI.”*
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.

Artikler:

- Artikel 1 – Solomon BJ, Besse B, Bauer TM, Felip E, Soo RA, Camidge DR, et al. Lorlatinib in patients with ALK-positive non-small-cell lung cancer: results from a global phase 2 study. *Lancet Oncol.* 2018;19(12):1654–67.
- Artikel 2 – Bauer TM, Shaw AT, Johnson ML, Navarro A, Gainor JF, Thurm H, et al. Brain Penetration of Lorlatinib: Cumulative Incidences of CNS and Non-CNS Progression with Lorlatinib in Patients with Previously Treated ALK-Positive Non-Small-Cell Lung Cancer. *Target Oncol* 2020;15(1):55–65.
- Artikel 3 - Shaw AT, Felip E, Bauer TM, Besse B, Navarro A, Postel-Vinay S, et al. Lorlatinib in non-small-cell lung cancer with ALK or ROS1 rearrangement: an international, multicentre, open-label, single-arm first-in-man phase 1 trial. *Lancet Oncol.* 2017;18(12):1590–9.
- Artikel 4 - Lin JJ, Schoenfeld AJ, Zhu VW, Yeap BY, Chin E, Rooney M, et al. Efficacy of Platinum/Pemetrexed Combination Chemotherapy in ALK-Positive NSCLC Refractory to Second-Generation ALK Inhibitors. *J Thorac Oncol* 2020;15(2):258–65.
- Artikel 5 - Duruisseaux M, Besse B, Cadranel J, Pérol M, Mennecier B, Bigay-Game L, et al. Overall survival with crizotinib and next-generation ALK inhibitors in ALK-positive non-small-cell lung cancer (IFCT-1302 CLINALK): A French nationwide cohort retrospective study. *Oncotarget.* 2017;8(13):21903–17.

- Artikel 6 – Peled N, Gillis R, Kilickap S, Froesch P, Orlov S, Filippova E, et al. GLASS: Global Lorlatinib for ALK(+) and ROS1(+) retrospective Study: real world data of 123 NSCLC patients. Lung Cancer. 2020;148(July 2020):48–54.
- Artikel 7 – Zhu VW, Lin YT, Kim DW, Loong HH, Nagasaka M, To H, et al. An International Real-World Analysis of the Efficacy and Safety of Lorlatinib Through Early or Expanded Access Programs in Patients With Tyrosine Kinase Inhibitor–Refractory ALK-Positive or ROS1-Positive NSCLC. J Thorac Oncol [internet]. 2020;15(9):1484–96.
- Artikel 8 - Lee J, Sun JM, Lee SH, Ahn JS, Park K, Choi Y La, et al. Efficacy and Safety of Lorlatinib in Korean Non–Small-Cell Lung Cancer Patients With ALK or ROS1 Rearrangement Whose Disease Failed to Respond to a Previous Tyrosine Kinase Inhibitor. Clin Lung Cancer [internet]. 2019;20(3):215–21.
- Artikel 9 (abstract) – Baldacci S, Besse B, Avrillon V, Mennecier B, Dubray-Longeras P, Mazieres J, et al. 1303P Lorlatinib for advanced ALK+ non-small cell lung cancer (NSCLC): Efficacy and safety data from IFCT-1803 LORLATU expanded access program (EAP) cohort. Ann Oncol [internet]. 2020;31:S843.
- Artikel 10 (abstract) – Frost N, Christopoulos P, Kauffmann-Guerrero D, Stratmann JA, Riedel R, Schäfer M, et al. 1368P Lorlatinib in pretreated ALK/ROS1-positive non-small cell lung cancer (NSCLC): Results from the German early access program. Ann Oncol [internet]. 2020;31:S874.
- Artikel 11 (abstract) – Kilickap S. LORLATINIB IN ALK- OR ROS1-POSITIVE NONSMALL CELL LUNG CANCER PATIENTS: EXPERIENCE FROM AN EARLY ACCESS PROGRAM IN TURKEY. I: Abstracts 2019 World Conference on Lung Cancer. 2019. s. P1.14-15.
- Artikel 12 – Shaw AT, Bauer TM, De Marinis F, Felip E, Goto Y, Liu G, Solomon BJ et al. First-Line Lorlatinib or Crizotinib in Advanced ALK-Positive Lung Cancer. N Engl J Med 2020; 383_2018-29. Tilgængelig fra: DOI: 10.1056/NEJMoa2027187

Artikler benyttet i den sundhedsøkonomiske model

- Artikel 13 - Novello S, Mazières J, Oh JJ, de Castro J, Migliorino MR, Helland A, et al. Alectinib versus chemotherapy in crizotinibpretreated anaplastic lymphoma kinase (ALK)-positive non-small-cell lung cancer: Results from the phase III ALUR study. Ann Oncol. 2018;29(6):1409–16.
- Artikel 14 - Shaw AT, Kim TM, Crinò L, Gridelli C, Kiura K, Liu G, et al. Ceritinib versus chemotherapy in patients with ALK-rearranged non-small-cell lung cancer previously given chemotherapy and crizotinib (ASCEND-5): a randomised, controlled, open-label, phase 3 trial. Lancet Oncol. 2017;18(7):874–86.

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 6: Anbefaling: Entrectinib (Rozlytrek) - ROS1 ikke-småcellet lungekræft

- Sagsforelæggelse vedr. anbefaling af entrectinib
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. entrectinib til førstelinjebehandling af uhelbredelig ROS1-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Svarark til godkendelse af protokol vedr. entrectinib
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Bilag til baggrund for anbefalingen:

- Bilag 1 - Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske afrapportering vedr. entrectinib, version 1.0
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 2 - Forhandlingsnotat fra Amgros vedr. entrectinib
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 3 - Høringssvar fra ansøger, inkl. eventuel efterfølgende dialog vedr. lægemidlets værdi
Sag i proces - offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 4 - Medicinrådets vurdering vedr. entrectinib til behandling af ROS1-positiv ikke-småcellet lungekræft, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Bilag 5 - Ansøgers endelige ansøgning
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 6 - Ansøgers tekniske dokument til den sundhedsøkonomiske ansøgning
Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 7 - Medicinrådets protokol for vurdering vedr. entrectinib til førstelinjebehandling af uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

Artikler:

- Artikel 1 - Drilon A, Siena S, Dziadziuszko R, Barlesi F, Krebs MG, Shaw AT, et al. Entrectinib in ROS1 fusion-positive non-small-cell lung cancer: integrated analysis of three phase 1–2 trials. *Lancet Oncol.* 2020;21(2):261–70.
- Artikel 2 - Chu P, Antoniou M, Bhutani M, Aziez A, Daigl M. Matching-adjusted indirect comparison: entrectinib versus crizotinib in ROS1 fusion-positive non-small cell lung cancer. *J Comp Eff Res.* 2020;
- Artikel 3 - Shaw AT, Riely GJ, Bang YJ, Kim DW, Camidge DR, Solomon BJ, et al. Crizotinib in ROS1-rearranged advanced non-small-cell lung cancer (NSCLC): updated results, including overall survival, from PROFILE 1001. *Ann Oncol.* 2019;30(7):1121–6.
- Artikel 4 - Moro-Sibilot D, Cozic N, Pérol M, Mazières J, Otto J, Souquet PJ, et al. Crizotinib in c-MET- or ROS1-positive NSCLC: Results of the AcSé phase II trial. *Ann Oncol.* 2019;30(12):1985–91.
- Artikel 5 - Michels S, Massutí B, Schildhaus HU, Franklin J, Sebastian M, Felip E, et al. Safety and Efficacy of Crizotinib in Patients With Advanced or Metastatic ROS1-Rearranged Lung Cancer (EUCROSS): A European Phase II Clinical Trial. *J Thorac Oncol.* 2019;14(7):1266–76.
- Artikel 6 - Landi L, Chiari R, Tiseo M, D’Inca F, Dazzi C, Chella A, et al. Crizotinib in MET-deregulated or ROS1-rearranged pretreated non-small cell lung cancer (METROS): A phase II, prospective, multicenter, two-arms trial. *Clin Cancer Res.*

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 7: Anbefaling: Entrectinib (Rozlytrek) - NTRK-fusion positive solide tumorer

- Sagsforelæggelse vedr. anbefaling af entrectinib til NTRK-fusion-positiv kræft
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. entrectinib til behandling af NTRK-fusion-positiv kræft, version 1.0.
Sag i proces - endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.

Bilag til anbefalingen:

- Bilag 1 - Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske afrapportering vedr. entrectinib, version 1.0
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 2 - Forhandlingsnotat fra Amgros vedr. entrectinib
Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.
- Bilag 3 - Høringssvar fra ansøger, inkl. efterfølgende dialog
Sag i proces - offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 4 - Medicinrådets vurdering vedr. entrectinib til behandling af NTRK-fusion-positiv kræft, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Bilag 5 - Ansøgers endelige ansøgning
Sag i proces - offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 6 - Ansøgers tekniske dokument til den sundhedsøkonomiske ansøgning
Sag i proces - offentliggøres efter Rådets behandling.
- Bilag 7 - Medicinrådets protokol for vurdering vedr. entrectinib til behandling af NTRK-fusion-positiv kræft, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

Artikler:

- Artikel 1 - Entrectinib in patients with advanced or metastatic NTRK fusion-positive solid tumours: integrated analysis of three phase 1–2 trials.
- Artikel 2 - Trk fusions are enriched in cancers with uncommon histologies and the absence of canonical driver mutations
På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 8: Cabotegravir (rilpivirine) – hiv-1-infektion

(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

- Udkast til Medicinrådets vurdering vedr. cabotegravir/rilpivirin til behandling af hiv-1-infektion, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser vedr. cabotegravir/rilpivirin
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Medicinrådets protokol for vurdering vedr. cabotegravir/rilpivirin til behandling af hiv-1-infektion, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Svarark til godkendelse af protokol vedr. cabotegravir/rilpivirin
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Artikler:

- Artikel 1 - Margolis DA, Gonzalez-Garcia J, Stellbrink H-J, Eron JJ, Yazdanpanah Y, Podzamczer D, et al. Long-acting intramuscular cabotegravir and rilpivirine in adults with HIV-1 infection (LATTE-2): 96-week results of a randomised, open-label, phase 2b, non-inferiority trial. *Lancet*. 2017;390(10101):1499–510.
- Artikel 2 - Murray M, Pulido F, Mills A, Ramgopal M, LeBlanc R, Jaeger H, et al. Patient-reported tolerability and acceptability of cabotegravir + rilpivirine long-acting injections for the treatment of HIV-1 infection: 96-week results from the randomized LATTE-2 study. *HIV Res Clin Pract*. 2019;20(4–5):111–22.

- Artikel 3 - Orkin C, Arasteh K, Górgolas Hernández-Mora M, Pokrovsky V, Overton ET, Girard P-M, et al. Long-Acting Cabotegravir and Rilpivirine after Oral Induction for HIV-1 Infection. *N Engl J Med.* 2020;382(12):1124–35.
- Artikel 4 - Swindells S, Andrade-Villanueva J-F, Richmond GJ, Rizzardini G, Baumgarten A, Masiá M, et al. Long-Acting Cabotegravir and Rilpivirine for Maintenance of HIV-1 Suppression. *N Engl J Med.* 2020;382(12):1112–23.
- Artikel 5 - Murray M, Antela A, Mills A, Huang J, Jäger H, Bernal E, et al. Patient-Reported Outcomes in ATLAS and FLAIR Participants on Long-Acting Regimens of Cabotegravir and Rilpivirine Over 48 Weeks. *AIDS Behav.* 2020;24(12):3533–44.
- Artikel 6 - Overton ET, Richmond G, Rizzardini G, Jaeger H, Orrell C, Nagimova F, et al. Long-acting cabotegravir and rilpivirine dosed every 2 months in adults with HIV-1 infection (ATLAS-2M), 48-week results: a randomised, multicentre, open-label, phase 3b, non-inferiority study. *Lancet.* 2020;396(10267):1994–2005.

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Bilagsoversigt – onsdag d. 24. marts 2021

Ad punkt 1: Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) - 5q spinal muskelatrofi

(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

- Sagsforelæggelse
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Bilag til sagsforelæggelse:
 - Fagudvalgets svar på Rådets spørgsmål
Internt dokument – offentliggøres ikke.
 - Ansøgers svar på Rådets spørgsmål (Respons to DMS questions)
Sag i proces – offentliggøres ikke.
 - Amgros: Status på forhandling på Zolgensma. 10. marts 2021
Sag i proces – offentliggøres ikke.
 - Oversigt over status for vurdering af Zolgensma i andre lande
Internt dokument – offentliggøres ikke.
 - Ansøgers foreløbige høringssvar til vurderingsrapporten
Sag i proces – offentliggøres ikke.
 - Bemærkninger til ansøgers foreløbige høringssvar
Sag i proces – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets vurdering vedr. onasemnogene abeparvovec til behandling af spinal muskelatrofi, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser vedr. onasemnogene abeparvovec
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Medicinrådets protokol for vurdering vedr. onasemnogene abeparvovec til behandling af spinal muskelatrofi, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

- Svarark til godkendelse af protokol vedr. onasemnogene abeparvovec
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Artikler:

- Artikel 1 - Mendell JR, Al-Zaidy S, Shell R, Arnold WD, Rodino-Klapac LR, Prior TW, et al. Single-Dose Gene- Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy. N Engl J Med. 2017;377(18):1713–22.
- Artikel 2 - Finkel RS, Mercuri E, Darras BT, Connolly AM, Kuntz NL, Kirschner J, et al. Nusinersen versus Sham Control in Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy. N Engl J Med. 2017;377(18):1723–32.
- Artikel 3 - De Vivo DC, Bertini E, Swoboda KJ, Hwu WL, Crawford TO, Finkel RS, et al. Nusinersen initiated in infants during the presymptomatic stage of spinal muscular atrophy: Interim efficacy and safety results from the Phase 2 NURTURE study. Neuromuscul Disord. 2019;29(11):842–56.

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 2: Omkostningsanalyse (tidligere udvidet sammenligningsgrundlag): Attakvis multipel sklerose

- Sagsforelæggelse vedr. omkostningsanalyse for behandlingsvejledning for attakvis multipel sklerose
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets omkostningsanalyse af ligestillede lægemidler til behandling af attakvis multipel sklerose, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.

Ad punkt 3: RADS - lægemiddelrekommandation: væksthormon

- Udkast: Behandlingsvejledning inkl. lægemiddelrekommandation for anvendelse af væksthormon hos børn og voksne
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.

Ad punkt 4: Filgotinib (Jyseleca) - kronisk leddegigt

(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

- Sagsforelæggelse vedr. filgotinib til kronisk leddegigt
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets vurdering vedr. filgotinib til behandling af kronisk leddegigt, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
 - Bilag 1 - Ansøgers endelige ansøgning med FINCH 1-data (data-on-file)
Sag i proces - offentliggøres efter Rådets behandling.
- Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser vedr. filgotinib
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Medicinrådets protokol for vurdering vedr. filgotinib til behandling af kronisk leddegigt, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Svarark til godkendelse af protokol vedr. filgotinib
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Artikler:

- Artikel 1 – FINCH 2 - Genovese MC et al. Effect of Filgotinib vs Placebo on Clinical Response in Patients With Moderate to Severe Rheumatoid Arthritis Refractory to Disease-Modifying Antirheumatic Drug Therapy. JAMA 2019;322(4):315.
- Artikel 2 – DARWIN 2 - Kavanaugh A et al. Filgotinib (GLPG0634/GS-6034), an oral selective JAK1 inhibitor, is effective as monotherapy in patients with active rheumatoid arthritis: results from a randomised, dose-finding study (DARWIN 2). Ann Rheum Dis 2017;76(6):1009–19.
- Artikel 3 – DARWIN 2 - Genovese M et al. Effect of filgotinib, a selective JAK 1 inhibitor, with and without methotrexate in patients with rheumatoid arthritis: patient-reported outcomes. Arthritis Res Ther 2018;20(1):57.
- Artikel 4 – Moreland LW et al. Etanercept therapy in rheumatoid arthritis. A randomized, controlled trial. Ann Intern Med 1999;130(6):478–86.

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 5: Egen drift: Idebenon (Raxone) - Lebers hereditære opticus-neuropati

(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

- Sagsforelæggelse vedr. sundhedsøkonomiske modelantagelser
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Tidligere sagsforelæggelse vedr. sundhedsøkonomisk analyse
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Udkast til Medicinrådets vurdering vedr. idebenon til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON), version 1.0.
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser vedr. idebenon til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON), version 1.0
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Medicinrådets protokol for vurdering vedr. idebenon til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON), version 1.0
[*Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.*](#)
- Svarark til godkendelse af protokol vedr. idebenon
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Artikler:

- Artikel 1 - A randomized placebo-controlled trial of idebenone in Leber's hereditary optic neuropathy

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 6: Pegvaliase (Palynziq) - phenylketonuri (PKU)

(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

- Udkast til Medicinrådets vurdering vedr. pegvaliase til behandling af fenyلكetonuri, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser vedr. pegvaliase
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Medicinrådets protokol for vurdering vedr. pegvaliase til behandling af fenyلكetonuri, version 1.1
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Svarark til godkendelse af protokol vedr. pegvaliase
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Artikler:

- Artikel 1 - Thomas J, Levy H, Amato S, Vockley J, Zori R, Dimmock D, et al. Pegvaliase for the treatment of phenylketonuria: Results of a long-term phase 3 clinical trial program (PRISM). *Mol Genet Metab.* 2018;124(1):27–38.
 - Artikel 2 - Harding CO, Amato RS, Stuy M, Longo N, Burton BK, Posner J, et al. Pegvaliase for the treatment of phenylketonuria: A pivotal, double-blind randomized discontinuation Phase 3 clinical trial. *Mol Genet Metab.* 2018;124(1):20–6.
 - Artikel 3 - Zori R, Ahring K, Burton B, Pastores GM, Rutsch F, Jha A, et al. Long-term comparative effectiveness of pegvaliase versus standard of care comparators in adults with phenylketonuria. *Mol Genet Metab.* 2019;
 - Artikel 4 - Burlina AP, Cazzorla C, Massa P, Polo G, Loro C, Gueraldi D, et al. Large neutral amino acid therapy increases tyrosine levels in adult patients with phenylketonuria: A long-term study. *Nutrients.* 2019
 - Artikel 5 - Scala I, Riccio MP, Marino M, Bravaccio C, Parenti G, Strisciuglio P. Large neutral amino acids (Lnaas) supplementation improves neuropsychological performances in adult patients with phenylketonuria. *Nutrients.* 2020
 - Artikel 6 - Schindeler S, Ghosh-Jerath S, Thompson S, Rocca A, Joy P, Kemp A, et al. The effects of large neutral amino acid supplements in PKU: An MRS and neuropsychological study. *Mol Genet Metab.* 2007;
- På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

Ad punkt 7: Afamelanotid (Scenesse) - erythropoietisk protoporfyri

(vurdering af lægemidlets værdi og godkendelse af den sundhedsøkonomiske model)

- Udkast til Medicinrådets vurdering vedr. afamelanotid til behandling af erythropoietisk protoporfyri, version 1.0
Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.
- Udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser vedr. afamelanotid
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Medicinrådets protokol for vurdering vedr. afamelanotid til behandling af erythropoietisk protoporfyri, version 1.0
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Svarark til godkendelse af protokol vedr. afamelanotid
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Artikler:

- Artikel 1 - Langendonk JG, Balwani M, Anderson KE, Bonkovsky HL, Anstey A V., Bissell DM, et al. Afamelanotide for erythropoietic protoporphyria. N Engl J Med. 2015;373(1):48–59.
- Artikel 2 - Biolcati G, Marchesini E, Sorge F, Barbieri L, Schneider-Yin X, Minder EI. Long-term observational study of afamelanotide in 115 patients with erythropoietic protoporphyria. Br J Dermatol. 2015;172(6):1601–12
- Artikel 3 - Wensink D, Wagenmakers MAEM, Barman-Aksözen J, Friesema ECH, Wilson JHP, van Rosmalen J, et al. Association of Afamelanotide With Improved Outcomes in Patients With Erythropoietic Protoporphyrin in Clinical Practice. JAMA dermatology. 2020;156(5):570–5

På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.

Ad punkt 8: Oplæg om betingede anbefalinger

- Sagsforelæggelse vedr. orientering til Rådet: model for brug af betingede anbefalinger
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Bilag 1 – Opgavebeskrivelse og synopsis vedr. betingede anbefalinger
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Ad punkt 9: Evt. opsamling på sagerne fra møde del 1 - tirsdag d. 23. marts 2021

- Ingen bilag

Ad punkt 10: Formandskabets meddelelser

- Ingen bilag

Ad punkt 11: Skriftlig orientering

Faste oversigter

- Oversigt - igangværende terapiområder - pr. marts 2021
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Oversigt - igangværende lægemiddelsager - pr. marts 2021
Internt dokument – offentliggøres ikke.
- Oversigt over Medicinrådets fagudvalg (regionsudpegninger) - pr. marts 2021
- Oversigt over rådsreview - terapiområder (internt dokument) - pr. marts 2021
Internt dokument – offentliggøres ikke.

Til orientering: Mindre revision af protokol for givosiran til akut hepatisk porfyri.

- Ny version fremsendt til Rådet
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmesiden.](#)

Pressehenvendelser siden sidste rådsmøde (ingen bilag)

- Medicinske Tidsskrifter - Lægemiddelrekommandation (IBD)
- Medicinske Tidsskrifter – Genterapi/Luxturna

- TV2 Go Aften Live – Luxturna
- TV2 + TV2 Bornholm - Zolgensma

Ad punkt 12: Eventuelt

- Ingen bilag

Regionsudpegning af fagudvalgsmedlemmer

Pr. marts 2021

(antal medlemmer pr. region)

OBS: Der kan forekomme igangværende udpegninger, som skyldes den 2-årige udpegningsperiode for fagudvalgsformænd og -medlemmer, som blev besluttet den 15. august 2018. Disse fremgår ikke af nedenstående liste.

Fagudvalg	Region Nordjylland	Region Midtjylland	Region Syddanmark	Region Sjælland	Region Hovedstaden
Akut leukæmi	1	1	1	1	2
Antibiotika (RADS)	1	0	1	1	1
Anæstesi	1	1	1	1	1
Arveligt angioødem	0	0	1	0	0
Atopisk eksem	0	0	1	1	1
Behandling og forebyggelse af venøse blodpropper hos kræftpatienter	1	0	1	1	1
Behandlingsresistent depression hos voksne	1	1	1	1	1
Benign hæmatologi	1	1	1	1	2
Blære- og urotelialkræft	1	1	1	1	1
Blødersygdom	0	1	0	1	1
Brystkræft	1	1	1	1	1
Cushings syndrom	1	1	1	0	0
Duchennes muskeldystrofi	1	1	1	1	1
Epilepsi	1	1	1	1	1
Fenylketonuri	1	0	1	0	0
Gigtsygdomme	1	1	1	1	1
Hiv/aids	0	1	1	1	1
Hoved- og halskræft	1	1	1	1	1
Immunglobulinsubstitution	2	2	2	2	2
Immunmodulerende behandling med immunglobiner	0	1	1	1	1
Inflammatoriske lidelser i næse og bihuler*	0	0	1	1	1
Inflammatoriske tarmsygdomme	1	1	1	1	1
Knoglemarvskræft (myelomatose)	1	1	1	1	1
Kronisk lymfatisk leukæmi (CLL)	1	1	1	1	1
Kræft i blærehalskirtlen	2	2	2	2	2
Kræft i mavesæk og mavemund	1	1	1	1	1

Kræft i æggestokkene og livmoderkræft	1	1	1	1	1
Leverbetændelse	1	1	1	1	1
Leverkræft	0	1	1	1	1
Lipidforstyrrelser (dyslipidæmi)	0	1	0	1	1
Lungeemfysem og lungefibrose	1	1	1	1	1
Lungekræft	0	1	1	1	0
Lymfekræft (lymfomer)	2	1	1	1	2
Migræne	0	0	1	1	1
Modermærkekræft og non-melanom hudkræft	1	1	1	0	1
Multipel sklerose	0	0	1	1	1
Neuroblastom	0	1	2	0	1
Nyrekræft	0	1	1	1	1
Porfyrisygdomme	1	0	1	0	0
Psoriasis og psoriasis med ledgener	0	1	1	1	1
Psykotiske tilstande	2	2	2	2	2
Sjældne knoglemetaboliske sygdomme	1	0	1	1	1
Spinal muskelatrofi	1	2	1	1	1
Svær astma	0	1	1	0	1
Transthyretin amyloidose	1	1	0	1	1
Tværgående kræftlægemidler	1	2	3	1	2
Tyk- og endetarmskræft	1	1	1	1	1
Type 2-diabetes	1	1	1	1	1
Øjensygdomme	1	1	1	1	1
Øvre gastrointestinale sygdomme	1	1	1	1	1

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

Fagudvalg under oprettelse er ikke angivet på listen

* Fagudvalget er justeret, og der er nyudpegninger i gang. Tidligere fagudvalget vedr. inflammatoriske lidelser i næse-hals regionen.

Kategori	Region Nordjylland	Region Midtjylland	Region Syddanmark	Region Sjælland	Region Hovedstaden
Under udpegnings	1	4	2	1	2
Udpegnings er sat i bero efter en konkret vurdering	0	1	0	0	0
Kan ikke opfylde Medicinrådets habilitetskrav / Ønsker ikke at deltage i fagudvalget	10	5	0	0	2
Har ikke specialet	5	1	1	6	0
Fagudvalgsformanden er ansat i regionen	0	0	0	0	1