

# Referat

**Mødetitel** 55. rådsmøde i Medicinrådet

---

**Dato** 28. april 2021

---

**Sted** Virtuelt

---

## Deltagere

- Jørgen Schøler Kristensen (formand)
- Steen Werner Hansen (formand)
- Knut Borch-Johnsen (loggede af kl. 16.15)
- Kim Brixen
- Jens Friis Bak
- Dorte Lisbet Nielsen
- Hanne Rolighed Christensen
- Birgitte Klindt Poulsen
- Lars Nielsen
- Per Jørgensen
- Anne Lene Riis
- Dorte Gyrd-Hansen
- Niels Obel
- Morten Freil
- Leif Vestergaard Pedersen

## Observatører

- Ida Sofie Jensen
- Dorthe Bartels
- Doris Hovgaard

## Fraværende

- Carl-Otto Gøtzsche
- Marie Louise Schougaard Christiansen (observatør)

### Fra sekretariatet

Torben Klein, Birgit Mørup (referent), Diana Milling Olsen, Tenna Bekker, Annemette Anker Nielsen, Katrine Valbjørn Lund, Marie Louise Sjølie, Karen Agerbæk Jørgensen, Madina Saidj, Sarah Storm Egeskov, Heidi Møller Johnsen, Rasmus Trap Wolf, Jonas Stidsborg, Karen Kleberg Hansen

Ekstern konsulent: Jens Ersbøll

### Observatører fra Aarhus Universitet

Kasper Lippert-Rasmussen, Lasse Nielsen, Andreas Albertsen og Anna Christine Hjuler Dorf

Formand Jørgen Schøler Kristensen bød velkommen til det 55. rådsmøde i Medicinrådet.

### Punkt 1

#### Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

### Punkt 2

#### Godkendelse af referat

Intet til godkendelse.

### Punkt 3

#### Oplæg vedr. habilitet

Sekretariatet præsenterede den praksisgennemgang, der var blevet udarbejdet af sekretariatet med bistand fra rådsmedlemmerne Leif Vestergaard Pedersen, Knut Borch-Johnsen og Per Jørgensen. Samtidig oplyste sekretariatet de områder, hvor der var behov for særlig drøftelse i Rådet. Rådet drøftede punkterne:

#### *Afgrænsning af fagudvalgets område*

Der var enighed om, at ikke alene lægemidler i fase 3 og 4, men også lægemidler i fase 1 og 2, skal inddrages i vurderingerne af habilitet. Lægemidler i pipeline er relevante i forhold til vurderingen af, om en relation til en virksomhed kan være inhabilitetsskabende.

#### *Afgrænsning af kræftfagudvalgs områder*

Rådet var enige om, at det var nødvendigt at foretage en helt konkret vurdering i forhold til fagudvalg inden for kræftbehandling. Det er ikke muligt at opstille en generel regel om dette, da der er store forskelle på, hvor bredt kræftlægemidler er målrettet.

Rådet mente, at det samme gør sig gældende på andre områder, hvor der også er et overordnet sygdomsområde og underområder.

#### *Deltagelse i sponsorerede kongresser*

Rådet drøftede dette punkt indgående, idet der både var tilkendegivelser om at stramme praksis – så også relationer forud for udpegning til et fagudvalg ville være inhabilitetsskabende – og om at fastholde praksis, hvor det fra udpegningsstidspunktet som udgangspunkt ikke længere er muligt at deltage i sponsorerede kongresser.

Rådet bad arbejdsgruppen om at genbesøge dette emne. Rådet fandt, at der ikke generelt skulle strammes op, men at det til gengæld skulle være klart, at relationer til én eller flere virksomheder, også i form af sponsorerede kongresser, kunne være inhabilitetsskabende.

#### *Deltagelse i virtuelle kongresser*

Rådet fandt, at der ikke på samme vis som med fysiske kongresser var risiko for at få etableret relationer, der kan påvirke et fagudvalgsmedlems habilitet. Der var derfor et flertal i Rådet, der mente, at praksis på det område skulle ændres, så det som udgangspunkt ikke var inhabilitetsskabende at deltage i en virtuel kongres. Det vil dog som altid bero på en konkret vurdering.

#### *Sponsorering via de regionale aftaler med Lif*

Rådet var enige om at holde fast i den allerede etablerede praksis: At habilitetsvurderinger i sager, som omhandler aktiviteter finansieret af sponsorerede midler i henhold til aftalerne, vurderes på samme vis, som hvis sponsoreringen foregik direkte med det enkelte medlem og en medicinalvirksomhed.

#### *Ændring af formulering i habilitetspolitikken*

Rådet drøftede, om der skulle foretages en konkret formulingsmæssig ændring i habilitetspolitikken. Rådet havde ikke konkrete forslag hertil.

#### *Medlemmer udpeget på en undtagelsesbestemmelse (forvaltningslovens § 4, stk.2)*

Rådet var enige om, at det fremover tydeligt skal gøres opmærksom på, når en sag kommer fra et fagudvalg, hvor der har været deltagelse af et fagudvalgsmedlem udpeget efter § 4, stk. 2. Rådet var også enige om, at det skal fremgå, hvilke aktiviteter der er angivet på habilitetserklæringen. Endelig var Rådet også enige om, at det skal fremgå af det endelige anbefalingsdokument.

Rådet ønskede også, at fagudvalgsformændene ikke blot bliver spurgt om, hvorvidt medlemmet er nødvendigt for at fagudvalget er beslutningsdygtigt, men også bliver bedt om at redegøre for, at der ikke er andre (habile) klinikere, som kan indtræde i fagudvalget i stedet.

Endelig besluttede Rådet, at beslutningen vedrørende udpegning af et medlem til et fagudvalg i henhold til forvaltningslovens § 4, stk. 2, altid skal løftes til beslutning i Rådet.

Formanden konkluderede, at arbejdsgruppens materiale skal tilrettes efter ovenstående tilkendegivelse, og herefter vil Rådet se det på ny.

## **Punkt 4**

### **Godkendelse af modelantagelser: Mogamulizumab (Poteligeo) – mycose-fungoider eller Sézary syndrom**

Medicinrådet godkendte på rådsmødet den 27. januar 2021 vurderingsrapporten og modelantagelserne vedr. mogamulizumab. Ansøgers høringsvar havde givet anledning til ændringer i de sundhedsøkonomiske modelantagelser, hvorfor sekretariatet præsenterede nyt udkast til Medicinrådets sundhedsøkonomiske modelantagelser.

Rådet godkendte modelantagelserne.

## Punkt 5

### **Anbefaling: Egen drift: Idebenon (Raxone) – Lebers hereditære opticus-neuropati**

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. idebenon til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON).

Med en enkelt rettelse til udkastet besluttede Rådet følgende:

#### **Medicinrådet anbefaler ikke**

idebenon til patienter med Lebers hereditære opticus-neuropati (LHON), fordi Medicinrådet ikke finder det sandsynligt, at idebenon forbedrer patienternes synsstyrke. Da idebenon ikke har nogen klinisk effekt, er omkostningerne forbundet med behandlingen ikke relevante for Medicinrådets anbefaling.

Anbefalingen gælder både patienter med udvidet og begrænset synstab.

---

Anbefalingen fremsendes til regionerne og offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

## Punkt 6

### **Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) – 5q spinal muskelatrofi**

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

Rådet fortsatte behandlingen af sagen fra 53. rådsmøde. Fagudvalgsformand Kirsten Svenstrup og fagudvalgsmedlem Peter Born deltog under punktet.

Sekretariatet præsenterede den nye sundhedsøkonomiske model, udarbejdet af en arbejdsgruppe med to rådsmedlemmer, nedsat på 53. rådsmøde. Sekretariatet og fagudvalgets repræsentanter præsenterede 2. udkast til vurderingsrapporten.

Rådet drøftede indgående sagen med fagudvalgsformanden og -medlemmet. Rådet spurgte særligt ind til varigheden af effekten, antallet af patienter, hvor der er tilgængelige langtidsdata, og advarslen fra EMA vedrørende alvorlige bivirkninger i form af trombotisk mikroangiopati. Med hensyn til langtidseffekt noterede Rådet sig, at det er yderst få patienter, som er fulgt i mere end 5 år.

Rådet spurgte herefter også ind til, om kombinationsbehandling kunne blive en mulighed, da det har vist sig, at en del af de patienter, som indgik i studierne af onasemnogene abeparvovec, efterfølgende bliver behandlet med nusinersen

oveni. Fagudvalgsformanden og -medlemmet oplyste, at der ikke er evidens for, at kombinationsbehandling vil have en effekt, hvilket også fremgik af vurderingsrapporten.

Rådet var på baggrund af drøftelserne grundlæggende enig i indstillingen, men fandt, at der var flere vigtige oplysninger, som skulle frem i selve konklusionen. Medicinrådets konklusion blev omformuleret på mødet. Med disse ændringer godkendte Rådet vurderingsrapporten.

Rådet besluttede også – fordi vurderingen er baseret på et meget lille datagrundlag – at sende et brev til ansøger, hvor Medicinrådet vil efterspørge data fra både de igangværende studier og data vedrørende de mere end 800 patienter, som allerede er i behandling på verdensplan.

Rådet godkendte endeligt også de sundhedsøkonomiske modelantagelser, dog med tilføjelse af en følsomhedsanalyse af budgetkonsekvenserne, såfremt markedsoptaget for onasemnogene abeparvovec bliver større end antaget.

Vurderingsrapporten offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

### **Punkt 7**

#### **Revurdering: Enzalutamid (Xtandi) – ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft (nmCRPC)**

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

Fagudvalgsformand Joen Sveistrup præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets vurdering vedr. enzalutamid til behandling af højrisiko ikke-metastaserende kastrationsresistent prostatakraft.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og spurgte især ind til opgørelsen af bivirkninger. Rådet fandt, at den måde, håndteringen af bivirkninger var beskrevet på, skulle ændres. Fagudvalgsformanden var enig i det synspunkt.

Med disse ændringer godkendte Rådet vurderingsrapporten. Rådet godkendte også de sundhedsøkonomiske modelantagelser.

Vurderingsrapporten offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

### **Punkt 8**

#### **Ixekizumab (Taltz) – rygsøjlegigt**

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

Fagudvalgsformand Annemarie Lyng Svensson præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets vurdering vedr. ixekizumab til behandling af rygsøjlegigt.

Rådet spurgte kort ind til en konkret formulering i rapporten. Med en tydeligere formulering her godkendte Rådet vurderingsrapporten og de sundhedsøkonomiske modelantagelser.

Vurderingsrapporten offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

### Punkt 9

#### **Andexanet Alfa (Ondexxya) – revertering af antikoagulation på grund af livstruende eller ukontrolleret blødning**

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

Fagudvalgsformand Jesper Kjærgaard præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets vurdering af andexanet alfa til patienter, som modtager direkte faktor Xa-hæmmer og har livstruende eller ukontrolleret blødning.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden. Rådet drøftede særligt datagrundlaget og det forhold, at fagudvalget ud fra det foreliggende datagrundlag ikke kan vurdere, om andexanet alfa sammenlignet med komparatoren protrombinkomplekskoncentrat (PKK) er et bedre, dårligere eller ligeværdigt behandlingsalternativ. Rådet drøftede også den praktiske håndtering af lægemidlet og betydningen af dette i forhold til den sundhedsøkonomiske model.

Rådet ønskede på baggrund af drøftelserne en formuleringsændring i konklusionen i vurderingsrapporten vedrørende usikkerheden om effekten og den forhøjede risiko for trombose.

Rådet godkendte herefter vurderingen og de sundhedsøkonomiske modelantagelser.

Vurderingsrapporten offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

### Punkt 10

#### **Anbefaling: Revurdering: Daratumumab i kombination med bortezomib, melphalan og prednison til førstelinjebehandling af knoglemarvskræft (til patienter, der ikke er kandidater til højdosis kemoterapi med stamcellestøtte)**

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. daratumumab i kombination med bortezomib, melphalan og prednison til nydiagnosticerede patienter med knoglemarvskræft, som ikke er egnede til højdosis kemoterapi med stamcellestøtte.

Rådet drøftede anbefalingen og den sundhedsøkonomiske model med det nye pristilbud fra ansøger.

Rådet besluttede at vente med at tage stilling til revurdering af anbefalingen. Årsagen var, at Rådet havde behov for at supplere den sundhedsøkonomiske analyse med oplysninger om det samlede forbrug af lægemidlet til andre indikationer, forbrugets udvikling og betydningen af dette for beregningerne i lyset af den volumenbaserede aftale.

Når Rådet har de supplerende oplysninger, vil Rådet se på sagen igen. Rådet accepterede, at sagen eventuelt forelægges skriftligt.

### Punkt 11

#### **Anbefaling: Brigatinib (Alunbrig) – ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, 1.linje**

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. brigatinib til førstelinjebehandling af uhelbredelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft.

Rådet var enigt om følgende:

#### Medicinrådet anbefaler

brigatinib som mulig førstelinjebehandling af patienter med uhelbredelig ALK-positiv ikke-småcellet lungekræft, fordi Medicinrådet finder det sandsynligt, at brigatinib er lige så godt som alectinib. Det er det lægemiddel, patienterne bliver behandlet med i dag.

Medicinrådet har vurderet, at brigatinib og alectinib foreløbigt kan betragtes som ligestillede, og anbefaler regionerne at benytte det lægemiddel, der er forbundet med de laveste omkostninger.

Rådet godkendte også tillæg til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til førstelinjebehandling af ikke-småcellet lungekræft vedr. patienter med ALK-translokation.

Anbefalingen og tillægget fremsendes til regionerne og offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

#### Punkt 12

##### Anbefaling: Cabotegravir/Rilpivirine (Vocabria/Rekambys) – hiv-1-infektion

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. cabotegravir-rilpivirin til behandling af hiv-infektion.

Rådet drøftede udkastet og særligt patientgruppen, for hvem injektionsbehandlingen kunne være en fordel. Rådet drøftede også patientantal og bivirkninger. Et rådsmedlem henlede i den forbindelse opmærksomheden på patienter med særlige behov.

Rådet noterede sig, at det kan være flere og forskellige forhold, der gør sig gældende for de patienter, der har ønske om en injektionsbehandling, og at regionerne kan tage stilling til eventuelle individuelle ansøgninger til patienter med helt særlige behov. Et rådsmedlem opfordrede til, at anbefalingen blev tilrettet en smule sprogligt.

Efter drøftelserne og nogle formuleringændringer besluttede Rådet følgende:

#### Medicinrådet anbefaler ikke

cabotegravir/rilpivirin som injektionsbehandling hver anden måned til behandling af hiv-1-infektion.

Medicinrådet anbefaler ikke cabotegravir/rilpivirin, fordi:

- lægemidlet ikke er bedre end den behandling, man bruger i dag. Injektionsbehandlingen kan være en fordel for de patienter, som oplever udfordringer med den daglige tabletbehandling, men er også forbundet med lidt flere bivirkninger. Samtidig koster det mere. Derfor bliver sundhedsvæsenets omkostninger til lægemidlet for høje.

Anbefalingen fremsendes til regionerne og offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

### Punkt 13

#### Anbefaling: Afamelanotid (Scenesse) – erytropoietisk protoporfyri

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. afamelanotid til behandling af erytropoietisk protoporfyri. Sekretariatet henledte Rådets opmærksomhed på to mindre ændringer i vurderingsrapporten som følge af virksomhedens høringssvar. Rådet godkendte ændringerne uden bemærkninger.

Rådet behandlede herefter udkast til anbefaling, og Rådet var enig i den forelagte anbefaling, men ønskede en formuleringsændring i konklusionen. Rådet besluttede herefter følgende:

#### Medicinrådet anbefaler ikke

afamelanotid til patienter med erytropoietisk protoporfyri, fordi data ikke er gode nok til, at Medicinrådet kan udtale sig sikkert om størrelsen af effekten af behandlingen. Afamelanotid ser ud til at kunne være en bedre behandling end ingen aktiv behandling, men prisen er for høj set i forhold til usikkerheden om effekten.

Anbefalingen fremsendes til regionerne og offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

### Punkt 14

#### Anbefaling: Pegvaliase (Palynziq) – phenylketonuri (PKU)

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende pegvaliase til behandling af fenylnketonuri.

Rådet drøftede anbefalingen, herunder særligt usikkerheden om effekten. Drøftelsen handlede især om, at Rådet fandt, at effekten i høj grad er baseret på antagelser, og at der manglede data på livskvalitet. Rådet drøftede også bivirkninger ved behandlingen.

Rådet vurderede, at udgifterne til behandlingen er for høje i forhold til usikkerheden om effekten. På det nuværende grundlag anbefaler Rådet derfor ikke pegvaliase til behandling af fenylnketonuri.

Rådet fandt det beklageligt ikke at kunne anbefale et lægemiddel, der ser ud til at kunne forbedre livet for patienter med fenylnketonuri, fordi prisen er for høj. Rådet håbede derfor, at ansøger vil komme tilbage med en betydeligt lavere pris, og opfordrede firmaet til at genoptage forhandlingerne.

#### Medicinrådet anbefaler ikke

pegvaliase til patienter fra 16 år med fenylnketonuri.

Medicinrådet anbefaler ikke pegvaliase, fordi

- data ikke er gode nok til, at Medicinrådet kan udtale sig sikkert om lægemidlet. Pegvaliase ser ud til at være en bedre behandling end den behandling, man anvender i dag, men der er også væsentlige bivirkninger. Medicinrådet finder, at prisen er for høj set i forhold til usikkerheden om den dokumenterede effekt.

Anbefalingen fremsendes til regionerne og offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.



## Punkt 15

### **Baricitinib (Olumiant) – atopisk eksem**

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

Fagudvalgsformand Gabrielle Vinding præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets vurdering vedrørende baricitinib til behandling af moderat til svær atopisk eksem hos voksne (> 18 år). Fagudvalgsmedlem Charlotte Gotthard Mørtz deltog også under punktet.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden. Rådet havde få bemærkninger og drøftede i den forbindelse forventninger til anvendelsen af baricitinib i klinikken.

Rådet godkendte herefter vurderingen og de sundhedsøkonomiske modelantagelser.

Vurderingsrapporten offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

## Punkt 16

### **Olaparib (Lynparza) i kombination med bevacizumab – nydiagnosticeret avanceret HRD-positiv kræft i æggestokkene, æggeledeerne eller primær kræft i bughinden**

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

Fagudvalgsformand Trine Jakobi Nøttrup præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets vurdering vedr. olaparib i kombination med bevacizumab til 1. linje vedligeholdelsesbehandling af avanceret high-grade kræft i æggestokkene, æggeledeerne eller primær kræft i bughinden med homolog rekombinationsdefekt samt overførbare til 2. linje.

Rådet drøftede sagen med fagudvalgsformanden, og drøftelserne handlede særligt om HRD-test, umodne overlevelseshdata og bivirkningstygden.

Rådet fandt, at formuleringerne om mulige bivirkninger ved brug af olaparib i kombination med bevacizumab som 2. linjebehandling skulle uddybes. Med disse tilføjelser godkendte Rådet vurderingsrapporten og de sundhedsøkonomiske modelantagelser.

Vurderingsrapporten offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

## Punkt 17

### **Niraparib (Zejula) – kræft i æggestokkene, æggeledeerne eller primær kræft i bughinden**

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

Fagudvalgsformand Trine Jakobi Nøttrup præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets vurdering vedrørende niraparib til 1. linje vedligeholdelsesbehandling af avanceret high-grade kræft i æggestokkene, æggeledeerne eller primær kræft i bughinden samt overførbare til 2. linje.

Rådet drøftede sagen med fagudvalgsformanden, herunder også det forhold, at det ikke havde været muligt at opnå konsensus i fagudvalget vedrørende vurderingen af ingen merværdi over for placebo til HRD-negative patienter samt effekten ved 2. linjebehandling. Et samlet Råd var enig i konklusionerne, som de fremstod i udkastet. Rådet tog ad notam, at et mindretal i fagudvalget havde en anden holdning. Rådet ønskede derfor også at sende et brev til dette mindretal.

Rådet spurgte også ind til praksis i andre lande, herunder hvordan man finder de grupper, som denne behandling responderer på. Fagudvalgsformanden pointerede, at de kliniske data anvendt i vurderingen baserer sig på en opdeling af patienterne efter den samme test, som fagudvalget foreslår, man anvender i Danmark.

Rådet godkendte herefter vurderingsrapporten og de sundhedsøkonomiske modelantagelser.

Vurderingsrapporten offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

## **Punkt 18**

### **Behandlingsvejledning: Inflammatoriske tarmsygdomme – Crohns sygdom**

Fagudvalgsformand Jens Kjeldsen præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende biologiske og målrettede syntetiske lægemidler til behandling af Crohns sygdom.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og spurgte ind til få emner. Rådet fandt, at fagudvalget havde udarbejdet et godt udkast og tilsluttede sig det, som det forelå.

Behandlingsvejledningen udsendes til regionerne og offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

## **Punkt 19**

### **Protokol: Arveligt angioødem**

Fagudvalgsformand Carsten Bindslev-Jensen præsenterede fagudvalgets udkast til Medicinrådets protokol for behandlingsvejledningen til arveligt angioødem.

Rådet drøftede protokollen med fagudvalgsformanden, herunder de angivne doser for børn og voksne. Rådet godkendte efter disse drøftelser protokollen, som den var blevet forelagt.

Protokollen offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

**Punkt 20****Formandskabets meddelelser**

Formanden oplyste, at næste møde – om muligt – afholdes fysisk.

**Punkt 21****Skriftlig orientering**

Intet til godkendelse.

**Punkt 22****Eventuelt**

De næste rådsmøder i Medicinrådet er:

- mandag d. 10. maj 2021 vedr. betingede anbefalinger/priser (virtuelt)
- onsdag d. 26. maj 2021 – ordinært møde

Afslutningsvis oplyste formandskabet, at de havde deltaget i et møde med Folketingets Sundhedsudvalg om metodeændringens (fra 2019) betydning for sjældne sygdomme.