

# **Medicinrådet**

**Medicinrådet (13. rådsmøde)**

**15-03-2018 10:00**

**Danske Regioner, Dampfærgevej 22, 2100 København Ø.**

---

**Information :**

**Medlemmer af Rådet:**

**Jørgen Schøler Kristensen (formand)**

**Steen Werner Hansen (formand)**

**Knut Borch-Johnsen**

**Jens Friis Bak**

**Claus Brøckner Nielsen**

**Kim Brixen**

**Per Jørgensen**

**Dorte Lisbet Nielsen**

**Birgitte Klindt Poulsen**

**Hanne Rolighed Christensen**

**Lars Nielsen**

**Niels Obel**

**Henning Beck-Nielsen**

**Morten Freil**

**Leif Vestergaard**

**Observatører i Rådet:**

**Doris Hovgaard**

**Ida Sofie Jensen**

**Deltagere fra sekretariatet:**

**Torben Klein (direktør), Birgit Mørup (referent), Diana Milling Olsen, Karen Agerbæk Jørgensen, Tenna Bekker, Kirsten Holdt Henningsen, Annemette Anker Nielsen og Katrine Valbjørn Lund**

**Afbud:**

**Marlene Øhrberg Krag**

# Mødeindhold

Punkt	Side
<a href="#">Punkt 1: Godkendelse af dagsorden</a>	1
<a href="#">Punkt 2: Godkendelse af referat</a>	2
<a href="#">Punkt 3: Fagudvalget vedrørende biosimilære lægemidler</a>	3
<a href="#">Punkt 4: Protokol: hæmofili B</a>	4
<a href="#">Punkt 5: Protokol: ikke-småcellet lungekræft</a>	5
<a href="#">Punkt 6: Klinisk merværdi: atezolizumab (Tecentriq) - ikke-småcellet lungekræft</a>	6
<a href="#">Punkt 7: Klinisk merværdi: tocilizumab (RoActemra) - kæmpecellearteritis</a>	7
<a href="#">Punkt 8: Klinisk merværdi: inotuzumab (Besponsa) - akut lymfatisk leukæmi</a>	8
<a href="#">Punkt 9: Klinisk merværdi: ocrelizumab (Ocrevus) PPMS - multipel sklerose</a>	9
<a href="#">Punkt 10: Anbefaling: lenalidomid (Revlimid) - knoglemarvskræft (myelomatose)</a>	10
<a href="#">Punkt 11: Anbefaling: brodalumab (Kyntheum) - psoriasis</a>	11
<a href="#">Punkt 12: Anbefaling: guselkumab (Tremfya) - psoriasis</a>	13
<a href="#">Punkt 13: Lægemiddelrekommandation: pulmonal arteriel hypertension (PAH)</a>	15
<a href="#">Punkt 14: Lægemiddelrekommandation: kronisk hepatitis C</a>	16
<a href="#">Punkt 15: RADS</a>	17
<a href="#">Punkt 16: Orientering og evt. drøftelse vedr. nusinersen (Spinraza)</a>	18
<a href="#">Punkt 17: Proces og metode</a>	19
<a href="#">Punkt 18: Organisering og sagsbehandling</a>	20
<a href="#">Punkt 19: KRIS</a>	21
<a href="#">Punkt 20: Formandskabets meddelelser</a>	22
<a href="#">Punkt 21: Skriftlig orientering</a>	23
<a href="#">Punkt 22: Eventuelt</a>	24

## Punkt 1: Godkendelse af dagsorden

Det indstilles, at Rådet godkender dagsordenen.

## Punkt 2: Godkendelse af referat

Intet til Rådets godkendelse.

## FAGUDVALGET VEDRØRENDE BIOSIMILÆRE LÆGEMIDLER

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til kommissorium for Medicinrådets fagudvalg vedrørende biosimilære lægemidler i dermatologien, gastroenterologien og reumatologien

### Bilag 3.1

- Udkast til kommissorium for Medicinrådets fagudvalg vedrørende biosimilære lægemidler i dermatologien, gastroenterologien og reumatologien - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## TERAPIOMRÅDE: HÆMOFILI B

Indstilling > **Protokol** > Behandlingsvejledning > Udvidet sammenligningsgrundlag > Lægemiddelrekommandation

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til protokol for Medicinrådets behandlingsvejledning for hæmofili B

### Præsentation for Rådet ved:

- Formand for fagudvalget vedrørende blødersygdomme (hæmofili) overlæge Eva Funding

### Reviewpersoner fra Rådet:

- Jens Friis Bak
- Per Jørgensen

### Fra sekretariatet deltager:

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Dorte Glintborg
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Madina Saidj

### Bilag 4.1

- Udkast til protokol for Medicinrådets behandlingsvejledning for hæmofili B - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## TERAPIOMRÅDE: IKKE-SMÅCELLET LUNGEKRÆFT

Indstilling > **Protokol** > Behandlingsvejledning > Udvidet sammenligningsgrundlag > Lægemiddelrekommandation

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til protokol for udarbejdelse af fælles regional behandlingsvejledning vedrørende ikke-kurabel ikke-småcellet lungekræft (NSCLC)

### Præsentation for Rådet ved:

- Formand for fagudvalget vedrørende lungekræft, overlæge Christa Haugaard Nyhus

### Reviewpersoner fra Rådet:

- Dorte Nielsen
- Claus Brøckner Nielsen

### Fra sekretariatet deltager:

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jette Østergaard Rathe
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Agla Jael Fridriksdottir
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jane Skov

### Bilag 5.1

- Udkast til protokol for udarbejdelse af fælles regional behandlingsvejledning vedrørende ikke-kurabel ikke-småcellet lungekræft (NSCLC) - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## ATEZOLIZUMAB (TECENTRIQ) - IKKE-SMÅCELLET LUNGEKRÆFT

Protokol > **Vurdering af klinisk merværdi** > Anbefaling

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af atezolizumab til behandling af ikke-småcellet lungekræft (NSCLC)

**Præsentation for Rådet ved:**

- Formand for fagudvalget vedrørende lungekræft, overlæge Christa Haugaard Nyhus

**Reviewpersoner fra Rådet:**

- Dorte Nielsen
- Claus Brøckner Nielsen

**Fra sekretariatet deltager:**

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jane Skov
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jette Østergaard Rathe

**Bilag 6.1**

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af atezolizumab til behandling af ikke-småcellet lungekræft (NSCLC) - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*



## TOCILIZUMAB (ROACTEMRA) - KÆMPECELLEARTERITIS

Protokol > **Vurdering af klinisk merværdi** > Anbefaling

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af tocilizumab til kæmpecellearteritis (GCA)

### Præsentation for Rådet ved:

- Formand for fagudvalget vedrørende gigtsygdomme, overlæge, dr.med. Ulrik Tarp

### Reviewpersoner fra Rådet:

- Kim Brixen
- Lars Nielsen

### Fra sekretariatet deltager:

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jeppe Schultz Christensen
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jane Skov

### Bilag 7.1

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af tocilizumab til kæmpecellearteritis (GCA) - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## INOTUZUMAB (BESPONSA) - AKUT LYMFATISK LEUKÆMI

Protokol > **Vurdering af klinisk merværdi** > Anbefaling

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af inotuzumab ozogamicin til akut lymfatisk leukæmi

**Præsentation for Rådet ved:**

- Formand for fagudvalget vedrørende akut leukæmi, ledende overlæge Jan Maxwell Nørgaard

**Reviewpersoner fra Rådet:**

- Dorte Lisbet Nielsen
- Claus Brøckner Nielsen

**Fra sekretariatet deltager:**

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jesper Skov Neergaard
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Ditte Marie Brix

**Bilag 8.1**

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af inotuzumab ozogamicin til akut lymfatisk leukæmi  
- *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## OCRELIZUMAB (OCREVUS) PPMS - MULTIPLE SKLEROSE

Protokol > **Vurdering af klinisk merværdi** > Anbefaling

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af ocrelizumab til behandling af primær progressiv multipel sklerose

### Præsentation for Rådet ved:

- Formand for fagudvalget vedrørende multipel sklerose, overlæge, ph.d. Lars Kristian Storr

### Reviewpersoner fra Rådet:

- Birgitte Klindt Poulsen
- Per Jørgensen

### Fra sekretariatet deltager:

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Lauge Niemann Rasmussen
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Jane Skov

### Bilag 9.1

- Udkast til Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af ocrelizumab til behandling af primær progressiv multipel sklerose - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## LENALIDOMID (REVLIMID) - KNOGLEMARVSKRÆFT (MYELOMATOSE)

Protokol > Vurdering af klinisk merværdi > **Anbefaling**

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende lenalidomid som vedligeholdelsesbehandling som mulig standardbehandling til knoglemarvskræft (myelomatose)

### Præsentation for Rådet ved:

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Karen Kleberg Hansen

### Reviewpersoner fra Rådet:

- Kim Brixen
- Knut Borch-Johnsen

### Fra sekretariatet deltager:

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Karen Kleberg Hansen

Amgros er til stede i forhold til eventuelle spørgsmål fra Rådet.

### Til Rådets orientering

*Offentliggøres ikke, interne oplysninger*

### Bilag 10.1-10.2

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende lenalidomid som vedligeholdelsesbehandling som mulig standardbehandling til knoglemarvskræft (myelomatose) - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Udkast til baggrund for Medicinrådets anbefaling vedrørende lenalidomid som vedligeholdelsesbehandling som mulig standardbehandling til knoglemarvskræft (myelomatose) - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## **BRODALUMAB (KYNTHEUM) - PSORIASIS**

Protokol > Vurdering af klinisk merværdi > **Anbefaling**

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende brodalumab som mulig standardbehandling til moderat til svær plaque psoriasis

### **Præsentation for Rådet ved:**

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Madina Saidj

### **Reviewpersoner fra Rådet:**

- Hanne Rolighed Christensen
- Lars Nielsen

### **Fra sekretariatet deltager:**

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Madina Saidj
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Susanne Thiesen Gren

Amgros er til stede i forhold til eventuelle spørgsmål fra Rådet.

### **Til Rådets orientering**

*Offentliggøres ikke, interne oplysninger*

### **Bilag 11.1-11.2**

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende brodalumab som mulig standardbehandling til moderat til svær plaque psoriasis - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## Punkt 11: Anbefaling: brodalumab (Kyntheum) - psoriasis

- Udkast til baggrund for Medicinrådets anbefaling af brodalumab som mulig standardbehandling til moderat til svær plaque psoriasis - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## **GUSELKUMAB (TREMFYA) - PSORIASIS**

Protokol > Vurdering af klinisk merværdi > **Anbefaling**

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende guselkumab som mulig standardbehandling til moderat til svær plaque psoriasis

### **Præsentation for Rådet ved:**

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Madina Saidj

### **Reviewpersoner fra Rådet:**

- Hanne Rolighed Christensen
- Lars Nielsen

### **Fra sekretariatet deltager:**

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Madina Saidj
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Susanne Thiesen Gren

Amgros er til stede i forhold til eventuelle spørgsmål fra Rådet.

### **Til Rådets orientering**

*Offentliggøres ikke, interne oplysninger*

### **Bilag 12.1-12.2**

- Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende guselkumab som mulig standardbehandling til moderat til svær plaque psoriasis - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## Punkt 12: Anbefaling: guselkumab (Tremfya) - psoriasis

- Udkast til baggrund for Medicinrådets anbefaling til guselkumab som mulig standardbehandling til moderat til svær plaque psoriasis - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*



## LÆGEMIDDELREKOMMANDATION: PULMONAL ARTERIEL HYPERTENSION

RADS behandlingsvejledning > nyt udbud > **lægemiddelrekommandation**

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til Behandlingsvejledning inklusive lægemiddelrekommandation vedr. specifik medicinsk behandling af pulmonal arteriel hypertension (PAH) hos voksne

### Bilag 13.1

- UDKAST: Behandlingsvejledning inklusive lægemiddelrekommandation vedr. specifik medicinsk behandling af pulmonal arteriel hypertension (PAH) hos voksne - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

## LÆGEMIDDELREKOMMANDATION: KRONISK HEPATITIS C

RADS behandlingsvejledning > anbefaling fra Medicinrådet > nyt udbud > **lægemiddelrekommandation**

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til lægemiddelrekommandation for behandling af kronisk hepatitis C infektion

**Fra sekretariatet deltager:**

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Susanne Thiesen Gren

### **Bilag 14.1**

- Udkast til lægemiddelrekommandation for behandling af kronisk hepatitis C infektion - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

Efter afviklingen af RADS pr. 31. december 2016 har det vist sig at være nødvendigt at udsende ændringer og rettelser af en række RADS-dokumenter. Medicinrådet har påtaget sig opgaven med at udsende de pågældende dokumenter til regionerne. Sekretariatet er blevet gjort opmærksom på, at der har været fejl i flere af sammenligningsgrundlagene for de biologiske lægemidler, og flere af lægemiddelrekommandationerne har som konsekvens heraf også indeholdt fejl.

- Det indstilles, at Rådet godkender de reviderede sammenligningsgrundlag vedr. aSpa, IBD, Pso, PsA og RA . Sammenligningsgrundlagene er i bilagene klippet ud af de respektive baggrundsnotater, og ændringerne er markeret med gult. Det er alene disse ændringer, Rådet skal forholde sig til.
- Det indstilles endvidere, at Rådet godkender de reviderede lægemiddelrekommandationer vedr. aSpa og RA. Ændringerne er markeret med gult i de bilagte lægemiddelrekommandationer. Det er alene de ændrede tabeller, Rådet skal forholde sig til.

### **Bilag 15.1 - 15.2 - 15.3 - 15.4 - 15.5 - 15.6 - 15.7**

- Sammenligningsgrundlag aSpa - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Sammenligningsgrundlag IBD - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Sammenligningsgrundlag Pso - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Sammenligningsgrundlag PsA - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Sammenligningsgrundlag RA - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Lægemiddelrekommandation aSpa 3.3 - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Lægemiddelrekommandation RA 3.4 - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*

Formandskabet præsenterer Rådet for status på drøftelserne vedrørende nusinersen (Spinraza) siden sidste rådsmøde.

### Fra sekretariatet deltager:

- Sundhedsvidenskabelig konsulent Dorte Glintborg
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Susanne Thiesen Gren
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Thea Christensen

### Bilag 1-15

*Bilag markeret med \* er tidligere fremsendt til Rådet.*

- Bilag 1: Orientering til Rådet om henvendelser vedrørende nusinersen - *Offentliggøres ikke, internt dokument*
- Bilag 2: Henvendelse fra rådsmedlem Leif Vestergaard Pedersen om nusinersen anbefalinger i Danmark, Sverige og Norge - *Offentliggøres ikke, internt dokument*
- Bilag 3: Oversigt over anbefalinger for nusinersen i Danmark, Sverige og Norge\*
- Bilag 4: Anbefalinger for nusinersen i Danmark, Sverige og Norge\*
- Bilag 5: Henvendelse fra rådsmedlem Leif Vestergaard Pedersen om forskelle i faglige anbefalinger - *Offentliggøres ikke, internt dokument*
- Bilag 6: Kriterier for klinisk relevant effekt ved behandling af SMA type II med nusinersen (Spinraza)
- Bilag 7: Henvendelse fra RehabiliteringsCenter for Muskelsvind
- Bilag 8: Medicinrådets svar til RehabiliteringsCenter for Muskelsvind
- Bilag 9: Henvendelse fra Biogen - *Offentliggøres ikke, indeholder fortrolige oplysninger*
- Bilag 10: Medicinrådets svar til Biogen
- Bilag 11: Mailsvar fra Biogen - *Offentliggøres ikke, indeholder fortrolige oplysninger*
- Bilag 12: Henvendelse fra Danske Regioner om bidrag til besvarelse af folketingsspørgsmål nr. 573 og 574 - *Offentliggøres ikke, er i proces*
- Bilag 13: Medicinrådets bidrag til besvarelse af folketingsspørgsmål nr. 573 og 574 sendt til Danske Regioner - *Offentliggøres ikke, er i proces*
- Bilag 14: Sundhedsministerens besvarelse af spørgsmål nr. 505 stillet af Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg
- Bilag 15: Redegørelse for Medicinrådets arbejde og anbefalingen vedrørende nusinersen

## Oversigt over anbefalinger for nusinersen (Spinraza) pr. 23. februar 2018

Danmark	Sverige	Norge
<p><b>Anbefales ikke som mulig standardbehandling</b></p> <p>Protokolleret ibrugtagning: SMA type I</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Symptomdebut før 6 mdr.</li> <li>• Er ikke i permanent respirationsbehandling</li> </ul> <p>Præsymptomatiske spædbørn</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Dokumenteret 5q SMA gendefekt og 2-3 SMN2-kopier.</li> </ul>	<p><b>Anbefales såfremt særlige kriterier er opfyldt</b></p> <p>Ibrugtagning kan overvejes til patienter med: SMA type I</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Er ikke i permanent respirationsbehandling</li> </ul> <p>SMA type II og IIIa (debut før 3 år)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Er under 18 år</li> <li>• Er ikke i permanent respirationsbehandling.</li> </ul>	<p><b>Anbefales under særlige forudsætninger</b></p> <p>Der åbnes ikke for generel ibrugtagning. Hver patient skal vurderes særskilt af en national faggruppe.</p> <p>SMA type I</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Er ikke i permanent respirationsbehandling</li> </ul> <p>SMA type II og IIIa (debut før 3 år)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Er under 18 år</li> <li>• Er ikke i permanent respirationsbehandling.</li> </ul>
<p><b>Revurdering*</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Hver 6. mdr. (efter opstartsregimet er gennemført)</li> </ul> <p><b>Kriterier for ophør*</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Progression af symptomer uden tegn på stabilisering (målt med navngivne funktionsskaler anvendt iht. alder og funktionsniveau)</li> <li>• Behandlingen vurderes som udsigtsløs</li> <li>• Beslutning om ophør konfereres mellem de tre kliniske centre</li> </ul> <p><b>Opfølgingsdata</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Klinikerne vil registrere effekten i en national kvalitetsdatabase.</li> </ul>	<p><b>Revurdering</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Hver 6. mdr. (efter opstartsregimet er gennemført)</li> </ul> <p><b>Kriterier for ophør</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Permanent respirationsbehandling</li> <li>• Type II og IIIa: Forværring i grovmotorik (målt med HFMSE)</li> <li>• Beslutning om ophør konfereres i en national klinisk ekspertgruppe</li> </ul> <p><b>Opfølgingsdata</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Patienten skal følges i et nationalt kvalitetsregister.</li> </ul>	<p><b>Revurdering</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Hver 4. mdr. (efter 1. år)</li> </ul> <p><b>Kriterier for ophør</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Permanent respirationsbehandling</li> <li>• Forværring af funktion (målt med navngivne skalaer), respirations- eller ernæringsstatus</li> <li>• Beslutning om den enkelte patient opfylder et stopkriterium træffes af en national faggruppe</li> </ul> <p><b>Opfølgingsdata</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Der etableres et medicinsk kvalitetsregister</li> <li>• Evaluering efter 6 mdr. og ny forhandling baseret på data fra kvalitetsregistret.</li> </ul>

\*Ikke fastlagt af Medicinrådet. National klinisk konsensus om ovenstående kriterier.

For uddybende information og detaljer se:

**Danmark:**

- <http://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/anbefalinger-nye-laegemidler-og-nye-indikationer>

**Sverige:**

- [http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt\\_inforande\\_av\\_nya\\_lakemedel/Nusinersen-\(Spinraza\)-171220.pdf](http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Nusinersen-(Spinraza)-171220.pdf)

**Norge:**

- <https://nyemetoder.no/nyheter/sier-ja-til-spinraza>
- <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Kriterier%20for%20behandling%20med%20nusinersen%20Spinraza%20for%20barn%20-18%20%C3%A5r.pdf>

23. februar 2018

Medicinrådet  
Dampfærgevej 27-29, 3. sal  
2100 København Ø

+45 70 10 36 00  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)  
medicinraadet.dk

## **Anbefalinger for anvendelse af nusinersen (Spinraza) i Danmark, Sverige og Norge**

Hverken Danmark, Sverige eller Norge tilbyder nusinersen til alle patienter med spinal muskeltrofi (SMA).

Både Danmark, Sverige og Norge har opstillet kriterier, som afgrænser hvilke patienter med SMA, der tilbydes behandling. I Norge og Sverige skal hver enkelt patient vurderes af en national klinisk ekspertgruppe, som skal sikre, at patienten opfylder kriterierne for ibrugtagning af lægemidlet.

### **Nationale anbefalinger**

Alle tre lande anbefaler nusinersen til udvalgte patienter med SMA type I, og kriterierne, for hvem der kan tilbydes behandlingen, er stort set identiske.

Danmark anbefaler desuden specifikt nusinersen til præsymptomatiske børn, mens Sverige og Norge, til forskel fra Danmark, anbefaler nusinersen til patienter med SMA type II samt til visse patienter med SMA type III, som debuterer før treårsalderen. Sidstnævnte anbefaling afspejler, at det kan være klinisk vanskeligt at skelne en tidligt debuterende type III fra en sent debuterende type II.

I både Norge og Sverige er anbefalingerne begrænset til patienter, som er under 18 år, og det er et krav, at patienten ikke må være i permanent respirationsbehandling.

I Norge og Sverige er der strikse kriterier for, hvornår behandlingen skal ophøre; effekten hos den enkelte patient skal evalueres med fastlagte intervaller, og behandlingen ophører, hvis patientens funktionsniveau forværres.

I Danmark har klinikere i fagudvalget vedrørende spinal muskeltrofi udarbejdet en protokol med kriterier for monitorering af effekt og behandlingsophør.

### **Indsamling af data**

I Norge skal der etableres et medicinsk kvalitetsregister, hvorpå ordningen skal evalueres efter 6 måneder og danne baggrund for en ny prisforhandling.

I Sverige skal hver patient følges i et nationalt kvalitetsregister, men det er ikke specificeret, hvordan man vil anvende data.

I Danmark vil klinikerne registrere effekten af nusinersen i en national database.

8. marts 2018

Medicinrådet  
Dampfærgevej 27-29, 3. sal  
2100 København Ø

+45 70 10 36 00  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)  
[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)

### **Kriterium for klinisk relevant effekt ved behandling af SMA type II med nusinersen (Spinraza)**

Medicinrådets fagudvalg vedrørende spinal muskelatrofi havde i protokollen for vurderingen af nusinersen (Spinraza) defineret en stigning på 15 point på HFSME-skalaen (Hammersmith Functional Motor Scale) som den mindste klinisk relevante forskel.

Efterfølgende har fagudvalget erkendt, at denne grænse ikke var velbegrundet, og at det er urealistisk at opnå denne effekt inden for de 15 måneder, som var opfølgningstiden i CHERISH-studiet, der lå til grund for vurderingen af nusinersen. Medicinrådets fagudvalg og Råd valgte derfor at se bort fra denne prædefinerede grænse, som heller ikke bruges i Norge eller Sverige.

Det fremgår således af Medicinrådets endelige vurdering af klinisk merværdi af nusinersen (s. 15), at:

”Den mindste klinisk relevante forskel er i protokollen sat til en 15 pointstigning på HFSME-skalaen i forhold til kontrolgruppen, hvilket ikke opnås inden for de kun 15 måneder, som analysen bygger på. Sammenholdes dette mål med sygdommens spontanforløb vurderet ved kontrolgruppens udvikling (se figur s. 15), må det efterfølgende konkluderes, at det ikke er realistisk at opnå en forbedring på 15 point inden for 15 måneders opfølgningstid.”

”På baggrund af den absolutte forskel på 37 procentpoint for andelen af patienter, som opnår en forbedring på min. 3 point målt på HFME, finder fagudvalget, at de aktuelle resultater foreløbig kvalificerer til en lille klinisk merværdi hos patienter med SMA type II.”

Da der for patienter med SMA type II ikke var effekt af nusinersen på andre effektmål og ingen data for livskvalitet, vurderede Medicinrådet, at nusinersen samlet set tilfører ”lille klinisk merværdi” (kategori 3). Havde Medicinrådet fastholdt grænsen på 15 point ville kategoriseringen have været ”ikkedokumenterbar klinisk merværdi”.

Sverige har fire kategorier for positiv klinisk merværdi: 1. Mycket stor, 2. Stor, 3. Måttlig og 4. Liten. Her har man placeret både SMA type I og II i kategori 2 ”stor klinisk merværdi”.

Danmark skelner mellem de to patientgrupper, og effektdata for bl.a. overlevelse gør, at nusinersen har ”vigtig klinisk merværdi” for børn med SMA type I.

Norge omsætter den kliniske effekt til QALY. Da der ikke findes livskvalitetsdata for SMA, har man i stedet anvendt QALY for Amyotrofisk Lateral Sklerose (ALS).





# RehabiliteringsCenter for Muskelsvind

Vest for Storebælt  
Kongsvang Allé 23  
DK - 8000 Århus C

Øst for Storebælt  
Blekinge Boulevard 2, 1. sal  
DK - 2630 Taastrup

Tlf. +45 8948 2222  
Fax +45 8948 2212

[www.rcfm.dk](http://www.rcfm.dk)

21. februar 2018

Medicinrådet

Att. Steen Werner Hansen og Jørgen Schøler Kristensen

## **Faglig undring vedrørende anvendelse af kritisk effektmål ved vurdering af medicin til patienter med SMA II**

RehabiliteringsCenter for Muskelsvind har fulgt Medicinrådets behandling af ansøgningen om medicinen Spinraza til danske patienter med spinal muskelatrofi.

Behandlingen er på mange måde banebrydende fordi der for første gang er mulighed for ikke kun at bremse en alvorlig fremadskridende muskelsvindsygdom, men reelt forbedre funktionsniveauet.

Behandlingen er dyr, men er alligevel blevet betinget godkendt i resten af Skandinavien. Godkendelsen i Norge og Sverige er givet på baggrund af resultatet af de studier, som i løbet af det seneste år også førte til godkendelse i USA og i en lang række europæiske lande.

I Danmark har Medicinrådet valgt at anbefale medicinen til præsymptomatiske børn, og - med visse betingelser - til børn med den alvorligste form for spinal muskelatrofi, SMA I. Medicinrådet har valgt ikke at anbefale medicinen til øvrige personer med spinal muskelatrofi. Der var på tidspunktet for afgørelsen endnu ikke evidens for effekt af behandling med Spinraza til personer med SMA III og IV, men vi undrer os over at medicinrådet også har fravalgt behandling af patienter med SMA II. Vi finder, at dette er sket på et tvivlsomt fagligt grundlag.

I medicinrådet har man valgt at vurdere behandlingseffekten for patienter med SMA II ud fra en tilsyneladende tilfældig sat grænse for, hvor meget den fysiske funktion skal forbedres efter medicinsk behandling. Det er her, at vi som fagspecialister i muskelsvindsygdomme undrer os.

Studierne om behandlingseffekt af Spinraza anvender en skala (HFMSE) med 33 opgaver/items. Skalaen er konstrueret, så den kan rumme børn SMA II og SMA III (stående/gående) og har et min. score på 0 point og et max. score på 66 point. Et barn med SMA II vil – fordi det per definition ikke kan gå - max kunne opnå 40 point, og i en ubehandlet gruppe af børn mellem 5-17 år er et baseline score på 0-20 point realistisk<sup>1</sup>. En stigning på  $\geq 3$  point anses internationalt som en klinisk relevant stigning i forhold til at måle en reel – og betydningsfuld - forbedring<sup>2</sup>. Numerisk er dette tal lille, men vil qua ovennævnte svare til noget større procentvis stigning.

De internationale studier, der har været fremlagt i ansøgningen om Spinraza dokumenter en stigning i funktionsniveau for behandlede børn med SMA II; dette bekræftes af et nyt publiceret studie<sup>3</sup>, hvor det også dokumenteres at den reelle forskel mellem behandlede og ubehandlede børn reelt er større, fordi ubehandlede børn taber funktion i løbet af studietiden.

Medicinerådet har valgt at fastsætte motorisk funktion som et kritisk vigtigt effektmål, men den mindste klinisk relevante forskel er fastsat til 15 point stigning på HFMSE sammenlignet med kontrolgruppen.

Vi anmoder medicinerådet om at fremlægge, hvori denne grænse på 15 point er begrundet? Vi finder det vigtigt at få dette afklaret, da 15 point-grænsen har væsentlig indflydelse på, at det kritiske effektmål ikke kan opfyldes og dermed påvirker medicinerådets konklusion af, at den kliniske mérværdi for personer med SMA II vurderes som lille.

Det er meget uheldigt hvis en tilfældig – og fagligt urealistisk - grænse bliver udslagsgivende for "ikke anbefalingen" af Spinraza til personer med SMA II.

Med venlig hilsen

Direktør, Cheflæge Heidi Aagaard og Forskningsleder, PhD Ulla Werlauff

RehabiliteringsCenter for Muskelsvind

<sup>1</sup> Werlauff et al. Physical characteristics and applicability of standard assessment methods in a total population of spinal muscular atrophy type II. *Neuromuscul Disord* 2010;20:34-43.

<sup>2</sup> Swoboda et al. SMA CARNI-VAL Trial Part I: Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Trial of L-Carnitine and Valproic Acid in Spinal Muscular Atrophy. *PLoS ONE* 2010 5(8): e12140

<sup>3</sup> Mercuri E et al. Nusinersen vs Sham control in Later-onset Spinal muscular atrophy. *N Engl J Med* 2018; 378: 625-635

Rehabiliteringscenter for Muskelsvind

Vest for Storebælt  
Kongsvang Allé 23  
8000 Århus C

Øst for Storebælt  
Islands Brygge 67  
2630 Taastrup

### **Svar på brev vedr. anvendelse af kritiske effektmål for vurdering af nusinersen til patienter med SMA II**

Tak for jeres brev, hvor I anmoder Medicinrådet om at fremlægge begrundelsen for, at man har valgt at fastsætte en mindste klinisk relevant forskel på 15 point på ”Hammersmith functional motor scale” for SMA type II.

For at sikre faglig ekspertise i Medicinrådets behandling af sager, nedsættes fagudvalg med repræsentanter fra regionerne, faglige selskaber og patientforeninger. Til behandlingen af nusinersen, er der nedsat et fagudvalg vedr. spinal muskelatrofi (SMA). Fagudvalget har udarbejdet et udkast til en protokol og vurderingsrapport, som Medicinrådet efterfølgende har godkendt. Protokol, vurdering og øvrigt sagsmateriale kan læses i [Baggrund for Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen til patienter med 5q spinal muskelatrofi](#).

Jævnfør *Protokol for vurdering af den kliniske merværdi af nusinersen til behandling af spinal muskelatrofi* fremgår det, at fagudvalget vedr. SMA gerne ville se resultater for nusinersen på effektmålene ventilationsbehov, motorisk funktion, behandlingsophør pga. bivirkninger og livskvalitet, til vurderingen af klinisk merværdi for nusinersen til behandling af SMA II.

Den mindste klinisk relevante forskel på 15 point på Hammersmith functional motor scale -expanded (HFMSE) i vurderingen af patienter med SMA II, er fremkommet ved at ” fagudvalget vurderede[de], at det er klinisk relevant, at patienterne stiger 1 point inden for ca. halvdelen af de underkategorier, der forekommer på skalaen, og det må forventes, at behandlingen skal medføre en samlet pointforbedring på ca. 50 % [af kategorierne].”

05. marts 2018

Medicinrådet  
Dampfærgevej 27-29, 3. sal  
2100 København Ø

+45 70 10 36 00  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)  
medicinraadet.dk

Efterfølgende konkluderer fagudvalget dog - på linje med Rehabiliteringscenter for Muskelsvind, i *Medicinrådets vurdering af klinisk merværdi af nusinersen til spinal muskelatrofi*, følgende: ”at det ikke er realistisk at opnå en forbedring på 15 point indenfor 15 måneders opfølgningstid”. Grænsen, som i protokollen var sat på 15 point, har derfor ikke været dikterende for Medicinrådets vurdering, hverken af nusinersens effekt på motorisk funktion hos patienter med SMA II - eller for den samlede kategorisering af merværdi.

Som det fremgår af Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen, har ansøger valgt at sætte prisen for nusinersen urimeligt højt, og Rådet finder derfor ikke, at der er proportionalitet mellem ansøgers prisforlangende og effekten af at tage nusinersen i brug som standardbehandling til SMA.

Med venlig hilsen

**Medicinrådets formandskab**

**Steen Werner Hansen & Jørgen Schøler Kristensen**

**Fra:** [Diana Milling Olsen](#)  
**Til:** [janne.harder@biogen.com](mailto:janne.harder@biogen.com)  
**Cc:** [Jørgen Schøler Kristensen](#); [Steen Werner Hansen](#); [Torben Klein](#)  
**Emne:** Svar fra Medicinrådet på henv. fra Biogen  
**Dato:** 2. marts 2018 11:05:32

---

Kære Janne Harder,

Tak for din henvendelse til Medicinrådet vedr. Rådets afslag på at anbefale Nusinersen (Spinraza) som mulig standardbehandling til børn med SMA type II.

Medicinrådets formandskab og sekretariat finder ikke, at der er nye forhold i sagen vedrørende kliniske eller sundhedsøkonomiske data, som giver anledning til en drøftelse af protokolleret ibrugtagning af nusinersen til SMA II patienter. Vi finder på den baggrund ikke, at der er behov for at mødes med Biogen for nuværende.

Medicinrådet gør opmærksom på, at såfremt der foreligger nye kliniske eller sundhedsøkonomiske data er Biogen, jf. Medicinrådets metoder, velkommen til at rette henvendelse til Medicinrådet for en ny vurdering af nusinersen.

Med venlig hilsen,  
Steen Werner Hansen og Jørgen Schøler Kristensen  
Medicinrådets formandskab

**Medicinrådets sekretariat**

Dampfærgevej 27-29  
2100 København Ø  
Telefon: 70 10 36 00  
e-mail: [medicinraad@medicinraadet.dk](mailto:medicinraad@medicinraadet.dk)



Holbergsgade 6  
DK-1057 København K

T +45 7226 9000  
F +45 7226 9001  
M sum@sum.dk  
W sum.dk

## Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg

Dato: 27-02-2018  
Enhed: MEDINT  
Sagsbeh.: DEPRHH  
Sagsnr.: 1801570  
Dok. nr.: 543830

Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg har den 30. januar 2018 stillet følgende spørgsmål nr. 505 (Alm. del) til sundhedsministeren, som hermed besvares. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra SF (Kirsten Normann Andersen).

Spørgsmål nr. 505:

”Ministeren bedes oplyse, hvorfor Medicinrådet mere præcist har afvist indførelse af medikamentet Spinraza i behandlingssystemet, og om der hidtil har kunnet påvises nogen signifikante virkninger ved brugen af Spinraza.”

Svar:

Jeg kan oplyse, at Medicinrådet på rådsmødet 30. januar 2018 drøftede anbefalingen af nusinersen (Spinraza), efter at ansøgeren (Biogen) havde givet Medicinrådet et nyt pristilbud.

- . / . Som det fremgår af *Medicinrådets anbefaling* (bilag 1) og *Baggrunden for Medicinrådets anbefaling* (bilag 2), der er tilgængelige på medicinrådets hjemmeside, anbefaler Medicinrådet ikke nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskelatrofi. Baggrunden er følgende::

*”Rådet finder ikke, at der er proportionalitet mellem Biogens prisforlangende og effekten af at tage nusinersen i brug som standardbehandling til SMA.*

*I lyset af fagudvalgets vurdering og ved anvendelse af alvorlighedsprincippet anbefaler Medicinrådet imidlertid, at der kan iværksættes protokollert ibrugtagning af nusinersen til præsymptomatiske spædbørn samt til patienter med SMA type I med 2-3 SMN2-kopier og symptomdebut før seks måneders alderen, som ikke er i permanent respirationsbehandling.*

*Medicinrådet besluttede også den 12. oktober 2017 ikke at anbefale nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskelatrofi. Biogen har efter 12 uger ansøgt Medicinrådet om at revurdere anbefalingen. Biogen har dog ikke fremsendt nye kliniske eller sundhedsøkonomiske data, hvorfor Medicinrådets revurdering af anbefalingen alene er baseret på en genforhandling om prisen for nusinersen.*

*Det samlede Medicinråd opfordrer derfor Biogen til at gennemføre yderligere studier af patienter med SMA type II og III - herunder børn under to år, som i øjeblikket ikke er omfattet af de randomiserede studier.”*

Studier har ifølge Medicinrådet vist, at nusinersen til spinal muskelatrofi (SMA) giver følgende resultater:

- *”Vigtig klinisk merværdi for patienter med SMA type I, da ét studie har vist, at nusinersen har effekt både på dødelighed og motorisk funktion.*

- *Vigtig klinisk merværdi hos præsymptomatiske børn med dokumenteret 5q SMA gendefekt, som tyder på SMA type I eller II, da ét studie har vist, at nusinersen ser ud til at forebygge eller forsinke udviklingen af sygdommen.*
- *Lille klinisk merværdi for patienter med SMA type II, da ét studie indtil nu kun har vist en lille effekt på motoriske funktioner.*
- *Ikkedokumenterbar klinisk merværdi for patienter med SMA type III, da der ikke findes studier, som kan vise, om nusinersen har effekt for denne gruppe patienter.*
- *Der er ikke aktuelt viden om effekten af nusinersen udover 13-15 måneders behandling.*
- *Der er ikke aktuelt viden om effekten af nusinersen på patienter med SMA type 0 og SMA type IV, hvorfor effekten af nusinersen til disse patientgrupper ikke kan vurderes.”*

Med venlig hilsen

Ellen Trane Nørby / Rasmus Hølge-Hazelton

28. februar 2018

Medicinrådet  
Dampfærgevej 27-29, 3. sal  
2100 København Ø

+45 70 10 36 00  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)  
[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)

## Medicinrådets opgave

Medicinrådets opgave er at udarbejde anbefalinger vedrørende nye lægemidler og behandlingsvejledninger.

Medicinrådets beføjelse vedrørende vurdering af nye lægemidler i henhold til Rådets kommissorium er alene at anbefale, hvorvidt et nyt lægemiddel kan anvendes som mulig standardbehandling. Rådet har ikke hjemmel til at træffe afgørelser.

## Folketingets syv principper for prioritering af sygehusmedicin

Medicinrådet iagttager **altid** Folketingets syv principper for overordnede principper for prioritering på området for sygehuslægemidler. Denne forpligtelse er fastlagt i Medicinrådets kommissorium.

Vores metoder, som er fastlagt af Danske Regioner, vil af og til udfordre det syvende princip, om at alle patientgrupper, store som små, skal have lige adgang til behandling. Det skyldes, at datagrundlaget for små sygdomsområder sædvanligvis vil være mere spinkelt.

Vi tager højde for denne problemstilling ved at inddrage et alvorlighedsprincip i vurderingen, som afspejler et hensyn til alvorlighed udover behandlingseffekt og omkostninger. Dette mandat blev givet til Medicinrådet af Danske Regioner ved etableringen af Medicinrådet.

Rådets anbefalinger baserer sig dog altid på en helhedsvurdering, hvorfor alvorlighedsprincippet ikke trumfer andre nødvendige og relevante hensyn.

Yderligere information om Medicinrådets anvendelse af alvorlighedsprincippet kan findes her:  
[http://medicinraadet.dk/media/5805/medicinraadet\\_anvendelse-af-alvorlighedsprincippet\\_september-2017.pdf](http://medicinraadet.dk/media/5805/medicinraadet_anvendelse-af-alvorlighedsprincippet_september-2017.pdf)

## Anvendelse af Medicinrådets anbefalinger

Medicinrådet fungerer som et regionalt samarbejde mellem de fem regioner. Medicinrådets anbefalinger udsendes til regionerne, og implementering af anbefalingerne sker i de enkelte regioner.

Anbefalingerne er ikke bindende for regionerne.

Medicinrådet tager ikke stilling til behandling af enkeltpatienter, men alene om et lægemiddel generelt anbefales som mulig standardbehandling.



### **Anbefalinger vedrørende nye lægemidler, ikke godkendelse**

Medicinrådet godkender ikke lægemidler. Godkendelse i form af en markedsføringstilladelse gives af Europa-Kommissionen eller Lægemiddelstyrelsen. Et lægemiddel er derfor allerede godkendt af myndighederne og kan være på markedet, når Medicinrådet tager stilling til, om det vil anbefale lægemidlet som mulig standardbehandling.

### **Inddragelse af eksperter i Medicinrådets arbejde**

Faglige eksperter inddrages **altid** i Medicinrådets arbejde. For hvert sygdomsområde nedsætter Medicinrådet et fagudvalg med 10-12 personer, der består af behandlende læger fra regionerne, farmaceuter, patientrepræsentanter mv.

Fagudvalgenes opgave er at foretage en faglig vurdering af lægemidlet. Denne vurdering udgør det faglige grundlag for Medicinrådets anbefaling.

Fagudvalgene kender ikke den forhandlede pris for lægemidlet, og de forholder sig ikke til omkostningerne ved at anvende lægemidlet. Den faglige vurdering i Medicinrådets fagudvalg foregår uafhængigt af de økonomiske vurderinger af lægemidlet.

### **Fagudvalgets opgaver**

Når Medicinrådet modtager en foreløbig ansøgning om et nyt lægemiddel, udarbejder det relevante fagudvalg en protokol, der definerer de faglige kriterier, der skal ligge til grund for vurderingen af et nyt lægemiddel.

Fagudvalgets udkast til protokol godkendes af Medicinrådets formænd efter dialog med fagudvalget.

Fagudvalget vurderer derefter de studier af det pågældende lægemiddel, som den ansøgende virksomhed har indsendt, og udarbejder et udkast til en kategorisering af lægemidlets kliniske merværdi, som fagudvalget præsenterer for og drøfter med Rådet. Når Rådet har godkendt kategoriseringen af lægemidlet, er fagudvalgets arbejde afsluttet. Fagudvalget involveres ikke i Rådets drøftelser om anbefalingen vedrørende lægemidlet.

### **Rådets anbefaling**

Rådets anbefaling vedrørende et nyt lægemiddel er en samlet vurdering af alle de aspekter, der er relevante for en anbefaling til mulig standardbehandling herunder omkostninger ved at anvende lægemidlet i forhold til dets effekt, hensynet til det samlede patientbillede samt eventuel inddragelse af alvorligheds- eller forsigtighedsprincipperne.

### **Krav til data og viden**

Det er den ansøgende lægemiddelvirksomheds ansvar at levere den kliniske evidens for et lægemiddels effekt. Data skal som udgangspunkt være publiceret i videnskabelige tidsskrifter eller lignende.

Vurderingsrapporten fra det europæiske lægemiddelagentur (EMA), kaldet lægemidlets EPAR, betragtes i denne forbindelse som en videnskabelig publikation.

Det har imidlertid aldrig været Medicinrådets opfattelse eller praksis, at den tilgængelige evidens skal stå alene i vurderingen af et lægemiddel. Evidensen bliver altid suppleret med en klinisk vurdering i fagudvalgene, hvor fagudvalget vurderer evidensens relevans i forhold til den danske kliniske virkelighed, herunder i hvilken grad de fundne effekter i studierne har betydning for patienten.

På baggrund af det første års erfaringer med vurdering af nye lægemidlers kliniske merværdi, arbejder Medicinrådet i øjeblikket på en opdatering af ”Metodehåndbog for Medicinrådets arbejde med at udarbejde fælles regionale vurderinger af nye lægemidlers og nye indikationers kliniske merværdi”.

Med den igangværende revidering af Metodehåndbogen forventer Medicinrådet at tydeliggøre opdelingen mellem sammenfatningen af den tilgængelige evidens og den kliniske vurdering, som fagudvalget foretager.

Medicinrådet forlader sig hverken med den hidtidige metode eller i forslaget til den ændrede vejledning på GRADE-metoden alene. GRADE er et supplerende redskab, der kan sige noget om tiltroen til den konklusion, som umiddelbart kan ses i den tilgængelige evidens. GRADE siger derfor ikke noget om, hvor godt lægemidlet virker.

### **Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen (Spinraza)**

Medicinrådet har drøftet en anbefaling vedrørende nusinersen (Spinraza) som mulig standardbehandling til 5q spinal muskeltrofi to gange: den 12. oktober 2017 og igen den 30. januar 2018, efter at den ansøgende medicinalvirksomhed havde ansøgt Medicinrådet om at revurdere anbefalingen på baggrund af en ny prisforhandling. Ansøger havde ikke fremsendt nye data, men alene en ny pris.

Fagudvalget vedrørende spinal muskeltrofi har udarbejdet den faglige vurdering af nusinersen (Spinraza). Som første led i vurderingen af nusinersen (Spinraza) udarbejdede fagudvalget en protokol, og derefter foretog de den faglige vurdering af lægemidlets kliniske merværdi. På baggrund heraf har fagudvalget udarbejdet en rapport til Rådet med fagudvalgets faglige vurderinger og forslag til kategorisering af lægemidlets kliniske merværdi.

Fagudvalget fremlagde denne rapport for Rådet på et rådsmøde den 16. august 2017. Her blev rapporten drøftet, og fagudvalgets forslag til kategorisering blev godkendt. Denne kategorisering indgik i grundlaget for Medicinrådets behandling af nusinersen (Spinraza) på rådsmødet den 12. oktober 2017, hvor Rådet konkluderede, at nusinersen (Spinraza) ikke anbefales som mulig standardbehandling.

Efterfølgende har fagudvalget afholdt endnu et møde og sendt et brev til Medicinrådet, som indgik i sagsakterne til Medicinrådets rådsmøde den 30. januar 2018, hvor Medicinrådet drøftede anbefalingen vedrørende nusinersen (Spinraza) på ny.

Det indstilles, at Rådet godkender:

- Udkast til indstilling om godkendelse af udkast til beskrivelser af nye metoder for hhv. søgestrategi for litteratur og kategorisering af klinisk merværdi i forbindelse med nye lægemidler og indikationsudvidelser
- Udkast til indstilling om godkendelse af udkast til høringsrapport

**Præsentation for Rådet ved:**

- Sekretariatets metodearbejdsgruppe

**Fra sekretariatet deltager:**

- Biostatistisk chefkonsulent Jan Odgaard-Jensen
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Karen Kleberg Hansen
- Sundhedsvidenskabelig konsulent Madina Saidj

**Bilag 17.1-17.2-17.3-17.4**

- Sagsforelæggelse: Vedtagelse af Medicinrådets nye metoder vedr. søgestrategi og kategorisering af klinisk merværdi i forbindelse med nye lægemidler og indikationsudvidelser, samt godkendelse af høringsrapport - *Offentliggøres ikke, internt dokument*
- Udkast til beskrivelser af nye metoder for hhv. søgestrategi for litteratur og kategorisering af klinisk merværdi i forbindelse med nye lægemidler og indikationsudvidelser - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Udkast til høringsrapport - *Endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling*
- Link til vores hjemmeside til de modtagne høringssvar - <http://medicinraadet.dk/nyheder/hoering-over-forslag-til-aendringer-af-medicinraadets-metoder-er-afsluttet>

Det indstilles, at Rådet drøfter og godkender:

- Samarbejdsaftale med VIVE (Det Nationale Forsknings- og Analysecenter for Velfærd) vedrørende forskningsprojekt

## **Bilag 18.1-18.2**

- Samarbejdsaftale i forbindelse med gennemførelse af forskningsprojektet:  
Adding Value: The (e)valuation of hospital medicines in the Danish healthcare services - *Offentliggøres ikke, internt dokument*
- Projektbeskrivelse: Adding Value: The (e)valuation of hospital medicines in the Danish healthcare services - *Offentliggøres ikke, internt dokument*

## Punkt 19: KRIS

Formandskabet orienterer kort om status på KRIS.

## Punkt 20: Formandskabets meddelelser

Kort gennemgang af formandskabets meddelelser til Rådet.

## Punkt 21: Skriftlig orientering

Følgende er til skriftlig orientering:

- Medicinrådets anmodning til Sundhedsstyrelsen om indførelse af et program for tidlig opsporing af hepatitis C

Fast punkt: status på sagsbehandlingsprocesser

- Oversigt over nye lægemidler
- Oversigt over terapiområder

### **Bilag 21.1-21.2-21.3**

- Brev: Medicinrådets anmodning til Sundhedsstyrelsen om indførelse af et program for tidlig opsporing af hepatitis C
- Oversigt over nye lægemidler - *Internt dokument - indeholder fortrolige oplysninger, offentliggøres ikke*
- Oversigt over terapiområder - *Internt dokument - indeholder fortrolige oplysninger, offentliggøres ikke*

Sundhedsstyrelsen  
Islands Brygge 67  
2300 København S

### **Anmodning om vurdering af et nationalt program for tidlig opsporing af hepatitis C**

Medicinrådet vil opfordre Sundhedsstyrelsen til at igangsætte en undersøgelse, som vurderer dokumentationsgrundlaget for indførelse af et program for tidlig opsporing af kronisk hepatitis C.

Behandling af kronisk hepatitis C er siden introduktion af andengenerations direkte antivirale midler blevet mere effektiv og sikker. Medicinrådet vil derfor i den kommende behandlingsvejledning for kronisk hepatitis C, der er under udarbejdelse, belyse omkostninger forbundet med behandling af patienter med kronisk hepatitis C med henblik på en mulig udvidelse af indikationerne for behandling i Danmark. Medicinrådet vil tage udgangspunkt i en samfundsøkonomisk analyse, som omfatter patienter i ambulans forløb samt patienter der derudover vides at have hepatitis C. Medicinrådet er opmærksom på, at der er en ukendt population af patienter med hepatitis C, der udgør en mulig smittekilde og som ved tidlig opsporing bedre vil kunne identificeres.

Da tidlig opsporing ligger uden for Medicinrådets rammer, opfordres Sundhedsstyrelsen til at undersøge, hvorvidt det vil være relevant at indføre et program for tidlig opsporing af hepatitis C, som et nationalt tilbud i Danmark til udvalgte målgrupper.

Medicinrådet vil gerne indgå i arbejdet med en beskrivelse af Medicinrådets behov.

Med venlig hilsen,

**Steen Werner Hansen & Jørgen Schøler Kristensen**  
**Formænd for Medicinrådet**

26. februar 2018

Medicinrådet  
Dampfærgevej 27-29, 3. sal  
2100 København Ø

+45 70 10 36 00  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)  
medicinraadet.dk



## Punkt 22: Eventuelt

Næste rådsmøde i Medicinrådet afholdes tirsdag den 24. april 2018.