



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 seksmånedersalderen, 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