

## Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskelatrofi

### Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler ikke** nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskelatrofi.

I lyset af fagudvalgets vurdering og ved anvendelse af alvorlighedsprincippet anbefaler Medicinrådet imidlertid, at der kan iværksættes protokolleret 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.

Det samlede Medicinråd opfordrer ansøger 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.

Ansøger har fortsat valgt at sætte prisen for nusinersen urimeligt højt, og Rådet finder ikke, at der er proportionalitet mellem ansøgers prisforlangende og effekten af at tage nusinersen i brug som standardbehandling til SMA.

*Yderligere oplysninger om Medicinrådets anbefaling findes i "Baggrund for Medicinrådets anbefaling".*

### Om denne anbefaling

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

### Sygdom og behandling

5q spinal muskelatrofi (SMA) er en arvelig muskelsvindsygdom, som oftest viser sig i den tidlige barndom. SMA forekommer i forskellige typer, som bl.a. afhænger af, hvornår symptomerne starter samt deres sværhedsgrad.

For SMA type I svækkes musklerne i en sådan grad, at barnet aldrig kommer til at sidde selv, og de fleste dør, inden de er fyldt 2 år. Et barn med SMA type II kan oftest sidde selv og kan have normal levealder, men kommer aldrig til at gå. En mildere grad af sygdommen (type III) kan opstå hos ældre børn.

Årligt bliver der i Danmark født 1-2 børn med SMA type I. Ca. 90 personer har SMA type II, og 70 personer har SMA type III. Det er i dag muligt at teste de meget få søskende til børn med SMA for, om de har arvet sygdommen, før den udvikler sig (præsymptomatiske børn). Der har ikke tidligere eksisteret lægemidler til behandling af sygdommen.

## Om lægemidlet

Nusinersen markedsføres af Biogen under handelsnavnet Spinraza.

Nusinersen skal indsprøjtes hver 4. måned i det hulrum, der omgiver rygmarven. Her øger det dannelsen af et bestemt protein (SMN), som er vigtigt for at holde de nerveceller i live, der stimulerer musklerne, og forhindrer at musklerne svækkes. I starten gives behandlingen hver 14. dag.

## Sundhedsfaglig vurdering

Medicinerådet vurderer, at nusinersen til spinal muskelatrofi (SMA) giver:

- 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.

## Medicinerådets vurdering af den sundhedsøkonomiske analyse i forhold til klinisk merværdi

Ansøger har valgt at sætte prisen for nusinersen urimeligt højt. Medicinerådet har derfor vurderet, at nusinersen ikke kan anbefales som standardbehandling.

## Overvejelser omkring alvorlighed/forsigtighed

Medicinerådet har fundet alvorlighedsprincippet særdeles relevant i forhold til vurderingen af nusinersen, men selv en fuld anvendelse af dette perspektiv på problemstillingen har ikke kunnet legitimere den meget høje pris.

## Relation til eksisterende behandlingsvejledning

Nusinersen er den første medicinske behandling af 5q spinal muskelatrofi. Der findes derfor ingen tidligere behandlingsvejledning på området.

## Tilslutning til anbefalingen

Anbefalingen har tilslutning fra 13 rådsmedlemmer. Danske Patienters to rådsmedlemmer har afgivet dissens vedrørende type II og III, som vil fremgå af referatet fra mødet.

## Om Medicinerådets anbefaling

Medicinerådets anbefaling bygger på en faglig vurdering af, om ny medicin giver merværdi for patienterne i forhold til eksisterende behandling, samt en vurdering af omkostningerne ved at anvende medicinen.

Regionernes indkøbsorganisation Amgros forhandler en pris for medicinen med ansøgeren. På baggrund af den forhandlede pris vurderer Medicinerådet, om medicinens merværdi står mål med omkostningerne, herunder lægemidlets pris, og om medicinen derfor kan anbefales som standardbehandling.