



Holbergsgade 6  
DK-1057 København K

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

## Folketingets Sundhedsudvalg

Dato: 02-09-2021  
Enhed: MEDINT  
Sagsbeh.: DEPBBN  
Sagsnr.: 2111881  
Dok. nr.: 1855298

Folketingets Sundhedsudvalg har den 19. juli 2021 stillet følgende spørgsmål nr. 1535 (Alm. del) til sundhedsministeren, som hermed besvares. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra Karina Adsbøl (DF).

Spørgsmål nr. 1535:

”Vil ministeren kommenterer på artiklen »Valdemar ikke få ny, banebrydende medicin« på [www.BT.dk](http://www.BT.dk) den 17. juli 2021 og redegøre for, om det er rimeligt, at Valdemar ikke kan få medicinen, når det er lægens anbefaling?”

Svar:

Det er regionerne, der i sidste ende afgør, hvorvidt og under hvilke omstændigheder et lægemiddel skal godkendes til brug. Dette sker ud fra en vurdering af den konkrete sag

Ministeriet har til brug for besvarelsen derfor indhentet bidrag fra Danske Regioner. Danske Regioner har modtaget bidrag fra Medicinrådet, hvortil jeg henholder mig:

”Medicinrådets opgave er at vurdere, om et nyt lægemiddel kan anbefales som mulig standardbehandling. Medicinrådet kan ikke udtale sig om enkelte patienters behandling.

Faktuelt kan Medicinrådet oplyse, at Rådet i maj 2021 anbefalede genterapien onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) som mulig standardbehandling til nogle spædbørn med muskelsvindsygdommen spinal muskeltrofi (SMA) type 1 og nyfødte børn med SMA, der endnu ikke har udviklet symptomer på sygdommen.

I forbindelse med Medicinrådets vurdering af Zolgensma har Rådet drøftet, hvornår det kan være relevant at skifte patienter fra behandling med Spinraza til behandling med Zolgensma.

Medicinrådet har vurderet, at de to behandlinger er ligeværdige hos børn, som er yngre end 6 måneder. Der foreligger ikke solid dokumentation for virkningen af Zolgensma hos børn, som er ældre end 6 måneder, og der er heller ikke data, som kan belyse, om patienterne opnår en bedre effekt, hvis de skifter behandling.

Medicinrådet har vurderet, at man kan overveje skift i særlige tilfælde, f.eks. hvis barnet har bivirkninger eller komplikationer forbundet med administrationen af Spinraza, og forudsat at barnet vejer under 13,5 kg, ikke er udtalt muskelsvækket og kan trække vejret selv.

Det er Medicinrådets opfattelse, at bivirkningerne skal være aktuelle og betydelige. Ved et skift er der risiko for nye bivirkninger. Zolgensma er en engangsbehandling, og det er derfor ikke muligt at stoppe behandlingen og skifte tilbage til Spinraza igen. Medicinrådet mener derfor som udgangspunkt ikke, at der er grund til at skifte en igangsat og velfungerende behandling.

Medicinrådet vurderer i øjeblikket det nye orale lægemiddel risdiplam, som har handelsnavnet Evrysdi. Når Rådet senere på året har vurderet dette lægemiddel, kan der potentielt være tre forskellige behandlingsmuligheder til rådighed. Det vil derfor være naturligt også at medtage risdiplam i de kliniske overvejelser af, hvad der vil være det bedste valg til patienterne.”

Danske Regioner har desuden oplyst følgende, hvortil jeg henholder mig:

”Danske Regioner kan supplerende oplyse, at regionerne har udarbejdet en fælles vejledning om anvendelse af lægemidler, der ikke er anbefalet af Medicinrådet. Det følger af vejledningen, at i de tilfælde, hvor den behandlende læge efter at have foretaget en samlet vurdering af en patient vurderer, at der er særlige forhold, som gør, at man bør overveje at tilbyde patienten lægemidlet, så skal vurderingen altid forelægges for den ledende overlæge og på en lægekonference. Før beslutningen effektueres, bør sagen også forelægges for et fagligt forum fx lægemiddelkomitéen.

Ansøgninger om ibrugtagning af medicin fremsendes typisk til den regionale lægemiddelkomité. Efter modtagelse af ansøgningen videresendes den til den regionale kliniske farmakologisk afdeling, som udarbejder et udkast til en konkret individuel vurdering af, hvorvidt patienten bør tilbydes behandling. I den forbindelse vurderes bl.a., om patienten kan forventes at have samme, bedre eller ringere effekt af behandlingen end de patienter, som er indgået i de kliniske studier, som er vurderet i behandlingen af lægemidlet i Medicinrådet. Herefter foretager det faglige forum den endelige vurdering af, hvorvidt individuel ibrugtagning kan anbefales.

En beslutning om, hvorvidt patienten kan tilbydes behandling, kan altså ikke bero på en generel holdning til, at Medicinrådet burde have anbefalet medicinen som standardbehandling til den målgruppe, patienten tilhører.”

Med venlig hilsen

Magnus Heunicke / Benjamin Nielsen