



SUNDHEDSSTYRELSEN

Dato 07-03-2022

CKR

Sagsnr. 03-0502-2

+45 20526429

## **Supplerende oplysninger vedrørende økonomien for et muligt screeningsprogram af nyfødte for spinal muskeltrofi (SMA)**

Spinal muskeltrofi (SMA) er en arvelig sygdom med muskelsvækkelse og muskelsvind pga. tiltagende tab af de nerveceller i rygmarven, der forsyner musklerne i arme, ben og krop.

Diagnosetidspunktet for SMA er afgørende for behandlingsmulighederne. Børn med SMA kan på nuværende tidspunkt ikke identificeres før symptomdebut, og der kan gå tid før, der foreligger en diagnose. Muligheden for screening giver mulighed for tidlig behandling, som angiveligt reducerer både sygelighed og dødelighed. Nusinersen (Spinraza) er en medicinsk behandling af SMA, der er godkendt i EU. Resultaterne er ganske lovende, og der er vist størst effekt hos de yngste børn, inden irreversibel skade er sket på motorneuronerne. Børn med SMA får problemer med bevægeapparat, vejrtrækning, ernæring (sondeernæring), kæbe/tænder mm. De fleste får behov for diverse hjælpemidler, som kørestol, skinner/korset, respirationsstøtte, personlige hjælpere/respirationshjælpere, regelmæssige lægebesøg, indlæggelser, operationer som seneforlængelser og skolioseoperationer samt særlig ernæring.

Efter ønske fra Sundhedsministeriet har Sundhedsstyrelsen kontaktet forslagsstillerne til forslaget vedrørende screening af nyfødte for SMA for om muligt at indhente supplerende oplysninger vedrørende økonomien. Dette notat skal ses som supplement til den allerede oversendte indstilling og det tilhørende baggrundsnotat.

### **1) Medicinudgifter**

Medicinudgifterne øges, men alt efter hvilken type SMA der er tale om, forventes de kun at stige marginalt.

Uanset diagnosealder skal alle børn have loading dosis af Spinraza på 4 doser. Børn med SMA type 1 diagnosticeres normalt i 3-5 måneders alderen. Hvis neonatal-screening for SMA indføres, kan disse børn diagnosticeres kort efter fødslen (omkring 5. dagen). Merudgiften vil derfor typisk kun være 1 ekstra dosis Spinraza (som gives hver 4. måned i vedligeholdelse).

Ved SMA type 2 eller 3 er forskellen i behandlingsvarighed længere. Børnene diagnosticeres omkring 5. dagen i stedet for 8-18 måneder gamle. Disse børn har til gengæld endnu bedre effekt af behandlingen, og udvikler sig ifølge forslagsstillerne typisk i underkanten af normalområdet.

For SMA type 2 vil der i de fleste tilfælde være tale om 2 ekstra doser Spinraza. Antallet af ekstra doser stiger i de fleste tilfælde for SMA type 3.

Det er nødvendigt også at nævne Zolgensma. Der er nu blevet behandlet to børn med Zolgensma, og det vil måske på sigt blive valgt på lige fod med Spinraza. Vælger man Zolgensma, vil der ikke være øgede medicinudgifter, idet alle børn med SMA, uanset om de diagnosticeres som nyfødte eller ved kliniske symptomer, kun skal have en dosis.

## 2) **Estimerede besparelser**

Forslagsstillerne understreger, at der vil være en klar besparelse på ikke-medicin udgifter ved at flytte diagnostisk alder til nyfødthedsperioden.

Det drejer sig om besparelse på operationer som seneforlængelser og skoliose-operationer, procedurer i forbindelse med vejtrækningsproblemer og særlig ernæring. Desuden kan man i mange tilfælde undgå dyr respiratorhjælp, indlæggelser, samt personlige hjælpere og særlige hjælpemidler. Desuden undgås dyr tabt arbejdsfortjeneste til forældrene.

Neonatalt screenede SMA børn har potentiale for at udvikle sig motorisk langt bedre end ved senere diagnose, nogle forventes ifølge forslagsstillerne endda at udvikle sig i normalområdet. I de tilfælde er der store besparelser at hente, da der ikke bliver behov for ovenforstående operationer, indlæggelser, procedurer og hjælpemidler. Mange af disse patienter kan desuden bidrage på det danske arbejdsmarked.

Da symptomerne ved præsymptomatisk behandling vil forskyde sig mod en mildere SMA type, vil udgifterne ligeledes reduceres. For SMA type 1 vil nogle udgifter dog stige, da flere børn overlever. Mange af børnene har dog så god effekt af medicinen at den øgede udgift udlignes og i nogle tilfælde alligevel vurderes at resultere i en besparelse.

## 3) **Cost-effectiveness**

Der er i Danmark ikke lavet sundhedsøkonomiske beregninger af screening af nyfødte for SMA. Prisen er 1.6 millioner DKK per år – et mindre beløb i forhold til selve behandlingen af SMA. Der findes efterhånden en del publikationer fra udlandet. Vedhæftet er to nylige publikationer vedrørende cost-effectiveness. Forslagsstillerne vurderer, at besparelser i Danmark kan være større, idet der findes flere handicapkompenenserende ydelser i Danmark sammenlignet med udlandet.

Forslagsstillerne har ikke sundhedsøkonomisk baggrund og kan ikke selvstændigt lave sundhedsøkonomiske analyser, men de stiller sig meget gerne til rådighed, hvis økonomer vil analysere de enkelte besparelser på operationer, procedurer, indlæggelser mm.

Overlæge, ph.d., Camilla Krogh