



INDENRIGS- OG SUNDHEDSMINISTERIET

Folketingets Sundhedsudvalg

Dato: 20-09-2023
Enhed: Lægemedler
Sagsbeh.: DEPTAL
Sagsnr.: 2023 - 328
Dok. nr.: 56840

Hermed sendes besvarelse af spørgsmål nr. 416 (Alm. del), som Folketingets Sundhedsudvalg har stillet til indenrigs- og sundhedsministeren den 17. maj 2023. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra Michael Aastrup Jensen (V).

Spørgsmål nr. 416:

”Hvad er ministerens holdning til, at patienter, som lider af familiær amyloidose, ikke kan behandles med præparatet Tafamidis for sygdommen, før de kommer på ventelisten til en levertransplantation?”

Svar:

Medicinrådet er et uafhængigt råd under Danske Regioner. Rådet udarbejder anbefalinger af, hvilke nye lægemidler, der skal være mulig standardbehandling på sygehuse. Anbefalingerne er baseret på en vurdering af, om der er et rimeligt forhold mellem den kliniske værdi og omkostningerne.

Da Medicinrådet blev etableret i 2017, var der opbakning fra alle Folketingets partier. Partierne var dengang enige om at fastlægge syv principper for prioriteringen af sygehushægemidler. De syv principper skulle danne grundlag for Medicinrådets arbejde og give regionerne klare rammer for prioritering af lægemiddelindkøb- og forbrug på sygehuse.

Indenrigs- og Sundhedsministeriet har til brug for besvarelse af spørgsmålet bedt Danske Regioner om bidrag først i juni 2023 og efterfølgende i august 2023, idet Medicinrådet den 23. august 2023 omformulerede rådets anbefaling for lægemidlet Tafamidis.

Danske Regioner har oplyst følgende:

- ”Medicinrådet udarbejder anbefalinger om, hvilke nye lægemidler, der skal være mulige standardbehandlinger på landets sygehuse, så den enkelte behandelende læge og sygehusafdelingerne har et kvalificeret grundlag for deres valg af behandling. Medicinrådet tager således ikke stilling til behandling af enkelte patienter. Den konkrete vurdering af patienterne sker på hospitalerne.

Tafamidis blev første gang vurderet af Medicinrådet på rådsmødet den 21. oktober 2020, hvor Medicinrådet anbefalede tafamidis til behandling af voksne patienter med arvelig transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati, som er skrevet op til levertransplantation.

På det pågældende tidspunkt var det dansk klinisk praksis, at patienter med arvelig transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati af typen ”Djurslandssygen” ved første sygdomstegn fra hjertet (når ekkokardiografi viser tegn på amyloid aflejring i hjertets venstre ventrikel) ville blive skrevet

op til en levertransplantation. Denne praksis var oplyst til Medicinrådet af lægemiddelvirksomheden bag lægemidlet, Pfizer, med rådgivning fra en førende ekspert på området. Medicinrådets fagudvalg var enig i denne praksis.

Medicinrådets anbefaling af tafamidis til patienter, som er skrevet op til levertransplantation, var således meget specifikt rettet mod, at netop disse patienter med "Djurslandssyge" og tegn på sygdom kunne få tafamidis ved aktiv sygdom (mens de ventede på transplantation)."

- "Medicinrådet har ikke har taget stilling til tafamidis som forebyggende behandling til personer, der alene er bærere af genmutationer, som kan lede til transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati, hvor sygdommen endnu ikke er brudt ud. Det skyldes, at de studier, som har ligget til grund for Medicinrådets anbefaling, ikke har undersøgt dette.

Medicinrådet har ikke anbefalet tafamidis til andre patienter med arvelig eller vildtype transthyretin-medieret amyloidose med kardiomyopati. Dvs. i praksis omfatter denne 'ikke-anbefaling' patienter med andre mindre alvorlige mutationer end p.Leu131Met (patienter, som derfor ikke skal have levertransplantation) og vildtype patienter, som har en anden årsag til sygdommen, og hvor sygdommen kommer til udtryk langt senere i livet."

- "På Medicinrådets møde den 23. august 2023 besluttede Rådet at ændre en formulering i Medicinrådets anbefaling vedrørende tafamidis til behandling af transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati. Det skyldes, at den kliniske praksis for behandlingen af patienterne har ændret sig.

Da Medicinrådet i 2020 første gang tog stilling til anbefalingen, blev patienter med 'Djurslandssygen' og andre tilsvarende arvelige udgaver af sygdommen skrevet op til levertransplantation ved første sygdomstegn. Derfor fremgik det af anbefalingen, at patienterne skulle være skrevet op til transplantation.

Patienterne bliver ikke længere skrevet op til transplantation. Derfor har Medicinrådet nu justeret anbefalingsteksten, så den flugter med den ændrede kliniske praksis.

Medicinrådet kan desuden oplyse, at Pfizer (lægemiddelvirksomheden bag lægemidlet) er kommet med et nyt pristilbud. Medicinrådet er p.t. i gang med at vurdere, hvorvidt anbefalingen til patienter med anden arvelig amyloidose med kardiomyopati (som er en 'ikke-anbefaling') skal revurderes på baggrund af den nye pris."

Jeg henholder mig til Danske Regioners bidrag. Som minister hverken kan eller vil jeg tage stilling til de faglige vurderinger, som laves af de faglige eksperter i Medicinrådet.

Med venlig hilsen

Sophie Løhde