

# Referat

<b>Mødetitel</b>	115. rådsmøde i Medicinrådet
<b>Dato</b>	25. marts 2026
<b>Sted</b>	Virtuelt

## Deltagere

- Birgitte Klindt Poulsen (forperson)
- Jannick Brennum (næstforperson)
- Kim Houliind
- Søren Pihlkjær Hjortshøj
- Tonny Studsgaard Petersen
- Zandra Nymand Ennis
- Christine Dinsen-Andersen
- Anne Lene Riis
- Ann-Brit Eg Hansen
- Anni Ravnsbæk Jensen
- Dorte Gyrd-Hansen
- Jan Sørensen
- Morten Freil
- Lisbeth Høeg-Jensen
- Janus Laust Thomsen
- Kirsten Wisborg

## Observatører

- Henrik Vestergaard
- Dorthe Bartels

## Afbud

- Kirstine Moll Harboe
- Peder Gunner Fabricius
- Peter Sørensen
- Hanne Lomholt Larsen

### Mødedeltagere fra sekretariatet

Søren Gaard, Laura Toftegaard Pedersen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Josephine Diderichsen, Camilla Nybo Eriksson (referent), Ehm Andersson Galijatovic (referent), Karen Agerbæk Jørgensen, Solveig Røigaard-Petersen og Jesper Lisberg.

### Velkomst

Forperson Birgitte Klindt Poulsen bød velkommen til det 115. rådsmøde i Medicinrådet.

Forpersonen bød velkommen til Kim Christian Houllind og Janus Laust Thomsen, som deltog i deres første rådsmøde. Kim er lægefaglig direktør ved Regionshospitalet Horsens, udpeget af Region Midtjylland. Janus er klinisk professor ved Center for Almen Medicin, Aalborg Universitet, repræsentant for Dansk Selskab for Almen Medicin (DSAM) og udpeget af Lægevidenskabelige Selskaber (LVS).

Forpersonen orienterede om indlæg i Dagens Pharma, som er skrevet af hende og næstforpersonen, som bidrager med fakta og tolkning af blandt andet den europæiske industriorganisation, EFPIAs, statistik over adgang til lægemidler i de europæiske lande, som ifølge forpersonen har en række mangler. Danske Regioner har også udgivet et faktaark om adgang til ny medicin, som er publiceret på LinkedIn.

Forpersonen orienterede desuden om, at Svend Særkjær, departementschef i Indenrigs- og Sundhedsministeriet, er ny administrerende direktør for Danske Regioner fra den 1. maj 2026.

## Punkt 1

### Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

## Punkt 2

### Anbefaling: Palopegteriparatid (Yorvipath)

Sekretariatet præsenterede vurderingen vedrørende palopegteriparatid (Yorvipath) til behandling af voksne med kronisk hypoparathyroidisme.

Fagudvalgsforpersonen Mikkel Andreassen beskrev, at fagudvalget vurderer, at behandling med palopegteriparatid kan være relevant for patienter med kronisk hypoparathyroidisme, som trods længerevarende og optimeret konventionel behandling fortsat har en betydelig sygdomsbyrde. For nogle patienter er sygdommen vanskelig at regulere på trods af tæt klinisk opfølgning, hvilket viser sig som vedvarende symptomer med gentagne fluktuationer i calcium, og som kræver hyppige hospitalskontakter.

Rådet diskuterede evidensgrundlaget og den betydelige usikkerhed forbundet med effekten af palopegteriparatid på livskvalitet, da komparatorarmen i studiet vurderes at være underbehandlet sammenlignet med dansk klinisk praksis, hvorfor effekten af behandlingen i det kliniske studie vurderes at være potentielt overestimeret. Desuden kunne patienterne i studiet være klar over om de fik den nye behandling eller ikke på grund af studiets design. Rådet vurderede, at det var usikkert om studiedata kunne overføres til en mere afgrænset population af patienter med utilstrækkelig kontrol på standardbehandling, end den population, der indgik i studiet, og som var bedre kontrolleret.

Rådet drøftede de væsentlige usikkerheder i den sundhedsøkonomiske analyse, særligt de langsigtede effekter og de forventede forbedringer i livskvalitet, hvilket har betydning for vurderingen af omkostningseffektiviteten.

Rådet vurderede, at palopegteriparatid kan reducere behovet for kalk og aktivt D-vitamin, men for patienter, der er utilstrækkeligt kontrolleret med nuværende standardbehandling, er dokumentationen for symptomlindring og forbedret livskvalitet usikker. Det skyldes, at det ikke udelukkende var denne patientgruppe, som indgik i det kliniske studie. Det er muligt, at palopegteriparatid kan give en vis sundhedsgevinst for den relevante patientgruppe i Danmark, men de estimerede sundhedsgevinster er behæftet med stor usikkerhed. Behandlingen er væsentligt dyrere end den nuværende behandling, og Rådet vurderede, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til effekten, når usikkerhederne tages i betragtning. Derfor anbefalede Rådet ikke palopegteriparatid som mulig standardbehandling.

Rådet ønskede at opfordre virksomheden til at vende tilbage med bedre data for lægemidlets effekt på livskvalitet i den relevante population og/eller en prisaf tale der bedre afspejler usikkerheden om behandlingens effekt.

### Punkt 3

#### Revurdering: Belantamab mafodotin

Sekretariatet præsenterede revurderingen vedrørende belantamab mafodotin i kombination med bortezomib og lenalidomid (BelBorDex) til behandling af myelomatose. Revurderingen er igangsat på baggrund af et nyt pristilbud.

Fagudvalgsmedlem Charlotte Toftmann Hansen beskrev, at BelBorDex kan give en væsentlig PFS- og OS-gevinst sammenlignet med daratumumab i kombination med bortezomib og dexamethason (DarBorDex), men fagudvalget hæfter sig ved, at BelBorDex ikke er dokumenteret at være bedre end daratumumab i kombination med lenalidomid og dexamethason (DarLenDex) og ikke er sammenlignet med ciltacabtagene autoleucel (cilta-cel), som ligesom DarBorDex og DarLenDex er en behandlingsmulighed i denne behandlingslinje. Dermed er BelBorDex kun en relevant behandling for patienter, som ikke er potentielle kandidater til cilta-cel eller ikke ønsker at blive behandlet med cilta-cel. Fagudvalget er opmærksomme på de hyppige øjenbivirkninger, og på grund af disse bivirkninger vil dosisjusteringer ofte være nødvendige.

Rådet påpegede, at studiepopulation afviger betydeligt fra den forventede patientpopulation i klinisk praksis, hvor den mest effektive behandling med cilta-cel er tilgængelig. Rådet drøftede usikkerheden omkring, hvordan forholdet mellem effekt og bivirkninger ved BelBorDex ville være i den mere skrøbelige population i dansk klinisk praksis, som kun udgør en meget lille andel af studiets population. Samtidig drøftede Rådet dosering og eventuelle dosisjusteringer af belantamab mafodotin, og i hvilket omfang det ville kunne påvirke omkostningerne. Rådet mente, at det var usikkert, hvordan forskelle i studiepopulation og den relevante patientpopulation i dansk klinisk praksis ville påvirke både effekt, bivirkninger og omkostninger og forholdet imellem disse faktorer.

Rådet lagde vægt på, at BelBorDex kun er relevant for patienter, der ikke er kandidater til cilta-cel, der anses for den mest effektive nuværende behandling til patienter, som har modtaget mindst én tidligere behandling. Rådet vurderede, at der kan være en sundhedsgevinst ved at give BelBorDex til patienter, der ikke er kandidater til cilta-cel, men den reelle gevinst er usikker, da danske patienter adskiller sig væsentligt fra dem, som er undersøgt i studiet. BelBorDex er væsentligt dyrere end de nuværende relevante behandlinger, og Rådet vurderede, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til effekten. Derfor anbefalede Rådet ikke BelBorDex som mulig standardbehandling.

Rådet ønskede at opfordre virksomheden til at vende tilbage med data for lægemidlets effekt og bivirkninger i den relevante population og/eller en prisaftale der bedre afspejler usikkerheden om behandlingens effekt.

## Punkt 4

### Anbefaling: Avapritinib

Sekretariatet præsenterede vurderingen vedrørende avapritinib til behandling af indolent systemisk mastocytose.

Fagudvalgsrepræsentanterne Andreja Dimitrijevic og Sigurd Broesby-Olsen beskrev, at fagudvalget vurderer at avapritinib repræsenterer den første sygdomsmodificerende behandling til indolent systemisk mastocytose. Lægemidlet er velkendt fra behandling af aggressiv systemisk mastocytose, hvor der er erfaring for, at det har effekt. Fagudvalget vurderer, at avapritinib kan have stor betydning for en mindre, selekteret patientgruppe med vedvarende svær symptombyrde på trods af optimal anvendelse af de symptomlindrende lægemidler, der i dag er tilgængelige.

Rådet spurgte ind til forskellen mellem indolent og aggressiv systemisk mastocytose samt til behandlingsmålet ved indolent systemisk mastocytose, som er symptomkontrol frem for overlevelse.

Rådet drøftede den observerede effekt på symptomscoren i studiet og betydningen af, at forbedringen var mindre end den forhåndsdefinerede mindste kliniske relevante forskel. Rådet drøftede herudover, om studiedata var repræsentative for den mindre, selekterede patientgruppe, som avapritinib vurderes at have stor betydning for.

Derudover drøftede Rådet usikkerheden omkring virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse, herunder antagelser vedr. aftagende placeboeffekt, behandlingsvarighed for avapritinib og dosering samt en eventuel betydning heraf for omkostningseffektiviteten.

Rådet vurderede, at avapritinib kan lindre sygdommens symptomer sammenlignet med den eksisterende behandling, som består af symptomlindrende behandling. Dog er effekten for de fleste patienter lille og mindre end det, der vurderes som klinisk relevant. Effekten af længerevarende behandling er usikker, og der er ikke dokumenteret en bedre livskvalitet af behandlingen. Avapritinib er dyrere end den eksisterende behandling, og Rådet vurderede, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til behandlingens effekt. Derfor anbefalede Rådet ikke avapritinib som mulig standardbehandling.

Rådet ønskede at virksomheden opfordres til at vende tilbage med bedre data for lægemidlets effekt på livskvalitet i den relevante population og/eller en prisaftale der bedre afspejler usikkerheden om behandlingens effekt.

## Punkt 5

### Anbefaling: Vamorolon

Sekretariatet præsenterede vurderingen vedrørende vamorolon til behandling af Duchennes muskeldystrofi.

Fagudvalget beskrev, at evidensen for vamorolons effekt er begrænset, men muligvis ringere end SoC. Data vedrørende færre bivirkninger er usikre, men indikerer en positiv effekt på højdetilvækst og muligvis også på adfærsændringer. Vamorolon kan derfor være at foretrække for nogle patienter, hvor færre bivirkninger vægter højere end fuld effekt, og dermed vil behandlingen kunne forbedre livskvaliteten sammenlignet med traditionelle glukokortikoider.

Rådet drøftede sygdommens sværhedsgrad og bivirkninger ved den nuværende behandling med glukokortikoider. Rådet bemærkede, at behandlingsrelaterede bivirkninger er af stor betydning for denne patientgruppe, som i forvejen har mange betydende symptomer relateret til sygdommen. Vamorolon er også et glukokortikoid, og bivirkningsprofilen vurderes at ligne den, der ses hos andre glukokortikoider. Data tyder på, at vamorolon muligvis kan reducere væksthæmning, som er en bivirkning ved nuværende behandlinger. Rådet anerkendte, at højdetilvækst kan være betydende for livskvaliteten hos patienter med Duchennes Muskeldystrofi, særligt i vækstperioden hos børn og teenagere. Datagrundlaget, der understøttede, hvilken betydning det har for livskvaliteten, er meget sparsomt. Særligt er det usikkert, i hvilket omfang de ændringer for højdetilvækst, som er set i studiet, vil påvirke patienternes livskvalitet hen over et helt sygdomsforløb, og om effekten af vamorolon er på niveau med nuværende behandling. Rådet drøftede herudover lægemidlets pris, som vurderes at være meget høj i forhold til den forventede sundhedsgevinst ved reduktion af bivirkninger.

Rådet lagde vægt på, at det ud fra de foreliggende data er usikkert, om vamorolon er lige så effektivt til at forsinke sygdomsforværring som den eksisterende behandling med prednisolon eller deflazacort. Data viser, at vamorolon formentlig kan reducere væksthæmning, som er en kendt bivirkning ved den eksisterende behandling. Det er usikkert, hvor meget væksthæmning betyder for patienternes livskvalitet, da det ikke er målt i studiet og de kliniske data for væksthæmning er også forbundet med usikkerhed. Behandlingen er væsentligt dyrere end den eksisterende behandling, og Rådet vurderede, at omkostningerne ikke er acceptable. Derfor anbefalede Rådet ikke vamorolon som mulig standardbehandling.

Rådet ønskede, at virksomheden opfordres til at vende tilbage med bedre dokumentation for lægemidlets effekt og lavere forekomst af bivirkninger i forhold til nuværende behandling, samt en markant lavere pris.

## Punkt 6

### **Anbefaling: Amivantamab i kombination med lazertinib og osimertinib i kombination med kemoterapi samt tillæg til behandlingsvejledning for førstelinjebehandling af uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft**

Sekretariatet præsenterede kort vurderingerne vedrørende amivantamab i kombination med lazertinib og osimertinib i kombination med kemoterapi. Begge vurderinger blev præsenteret på sidste rådsmøde, mens beslutningen afventede det opdaterede tillæg til behandlingsvejledningen, hvor begge lægemidler indgår.

Herefter præsenterede sekretariatet et opdateret tillæg til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende førstelinjebehandling af uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft samt den tilhørende omkostningsanalyse. Heri var beskrevet, at de to kombinationsbehandlinger kan ligestilles hvad angår effekt og bivirkninger, og at de to EGFR-hæmmerne fortsættes ved oligoprogression i klinisk praksis.

Fagudvalgsforpersonen Lotte Holm Land beskrev, at fagudvalget vurderer, at amivantamab i kombination med lazertinib og osimertinib i kombination med kemoterapi begge er relevante behandlingsmuligheder til patientgruppen, primært til patienter i god almentilstand og uden betydende komorbiditet.

Rådet drøftede definitionen af oligoprogression og præciserede, at fortsat behandling med kombinationsbehandlinger kun anbefales forsat, hvis progression er begrænset til højst 3 metastaser, der lokalbehandles. Yderligere drøftede Rådet anvendelsen af kombinationsbehandlinger ved en ligestilling.

Rådet godkendte herefter tillægget til Medicinrådets behandlingsvejledning, omkostningsanalysen og anbefalede begge lægemidler.

For begge vurderinger lagde Rådet vægt på, at kombinationsbehandlingerne kan udskyde sygdomsforværring og forlænge overlevelsen sammenlignet med osimertinib alene. Kombinationsbehandlingerne medfører dog flere hospitalsbesøg og flere bivirkninger, særligt i starten af behandlingen, hvilket medfører at patienterne oplever lavere livskvalitet. Idet kombinationsbehandlingen udskyder forværring af sygdommen, er behandlingsvarigheden længere. Der er usikkerhed om, hvor meget længere behandlingen udskyder sygdomsforværring, og hvor lang behandlingsvarigheden vil være i dansk klinisk praksis. Rådet vurderede samlet set, at omkostningerne for begge kombinationsbehandling er acceptable i forhold til gevinsten. Derfor anbefalede Rådet begge kombinationsbehandling som mulige standardbehandling.

## Punkt 7

### Direktørens meddelelser

Direktør Søren Gaard orienterede om, at en stor del af de udskudte sager, som tidligere har bidraget til en større sagspukkel, nu er igangsat. Nogle sager har en længere sagsbehandlingstid som følge af ventetid, men mange sager behandles fortsat inden for de fastsatte tidsrammer. Der forventes samlet en mindre stigning i sagsbehandlingstiden i de kommende måneder, da sekretariatet nu arbejder med sager, som har haft udskudt opstart. I april forventer vi at modtage mange ansøgninger, da de som følge af procesreglerne klumper sig sammen i denne måned, hvilket kan betyde, at nogle af dem forsinkes.

Direktøren orienterede desuden om sekretariatets deltagelse i NICE's årlige konference i Manchester, hvor NICE gav indblik i NICE's arbejdsmetoder og udfordringer.

## Punkt 8

### Evt. bemærkninger til skriftlige sager

Rådet har i marts behandlet to sager i skriftlig proces:

- **Anbefaling:** Cemiplimab anbefales ikke til adjuverende behandling af voksne patienter med kutant planocellulært karcinom
- **Revurdering:** Tebentafusp anbefales ikke til behandling af voksne patienter med human-leukocyt-antigen-(HLA) A\*02:01-positiv ikke-resektabel eller metastatisk uvealt melanom

Sagerne blev godkendt uden yderligere bemærkninger.

## Punkt 9

### Eventuelt

Næste rådsmøde i Medicinrådet er d. 29. april 2026.