

Medicinrådets
lægemiddelrekommandation
vedrørende lægemidler til
Fabrys sygdom

Rek



Om Medicinrådets behandlingsvejledninger

Formålet med Medicinrådets behandlingsvejledninger er at vurdere, hvilke lægemidler der ud fra en samlet klinisk og økonomisk betragtning er mest hensigtsmæssige at behandle patienter med inden for et sygdomsområde.

Behandlingsvejledningen indeholder Medicinrådets kliniske vurdering af de lægemidler, der kan sammenlignes, inden for et sygdomsområde. Relevante overvejelser er typisk:

- Hvilke lægemidler udgør den bedste behandling, og betragtes nogle af dem som ligeværdige alternativer til den relevante patientgruppe?
- Hvilke patienter kan behandles med lægemidlerne?

Desuden adresserer behandlingsvejledningen, hvilke kriterier der er for anvendelse af lægemidlerne:

- Kriterier for opstart af behandling.
- Kriterier for skift af behandling.
- Kriterier for stop eller dosisjustering af behandling.

Medicinrådets behandlingsvejledning inkluderer følgende dokumenter: protokol, evidensgenngang og opsummering. På baggrund af behandlingsvejledningen kan Medicinrådet udarbejde en evt. omkostningsanalyse og *lægemiddelrekommandation*.

Om Medicinrådets lægemiddelrekommandation

Medicinrådets lægemiddelrekommandationer er at betragte på linje med anbefalinger af nye lægemidler. Det vil sige, at et lægemiddel, som er inkluderet i behandlingsvejledningen, først er at betragte som anbefalet af Medicinrådet, når det fremgår af en lægemiddelrekommandation.

Rekommandationerne er udarbejdet på baggrund af det kliniske sammeligningsgrundlag for de lægemidler, som Medicinrådet har vurderet er ligestillede for det givne sygdomsområde og en evt. omkostningsanalyse. I rekommandationen er de klinisk ligestillede lægemidler rangeret baseret på de samlede omkostninger til lægemidlerne.

Se [Metodevejledning for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme sygdomsområde](#) for yderligere information på Medicinrådets hjemmeside.



Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato 26. marts 2025

Ikrafttrædelsesdato 1. august 2025

Dokumentnummer 214505

Versionsnummer 1.0

© Medicinrådet, 2025
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 27. marts 2025



Medicinrådets lægemiddelrekommandation

Medicinrådets lægemiddelrekommandation angiver for Fabrys sygdom, hvilke specifikke lægemidler der med baggrund i pris og effekt er mest hensigtsmæssige at anvende. I lægemiddelrekommandationen er de klinisk ligestillede lægemidler prioriteret ud fra deres totalomkostninger ved behandling i 12 måneder.

Som anført i [Evidensgennemgangen](#) vedr. lægemidler til Fabrys sygdom, anbefaler Medicinrådet at skifte så mange patienter som muligt til det billigste lægemiddel i "anvend", hvis besparelsen i lægemiddeludgifter som minimum opvejer omkostninger og besvær for patient og sygehus. De ekstra undersøgelser ved skift kan være belastende for patienten, og for at sikre fortsat compliance og rutine tilstræbes skift som udgangspunkt højst hvert 3. år.

Patienter med Fabrys sygdom med en targeterbar mutation (jf. klinisk spørgsmål 1) Tabel 1 viser rangeringen af de klinisk ligestillede lægemidler i kategorien "anvend". Elfabrio (pegunigalsidase alfa) er 1. valg til mindst 70 % af patienterne med en targeterbar mutation, som opstarter behandling for Fabrys sygdom. Procentsatsen på 70 % rummer, at complianceproblemer eller vanskeligheder ved intravenøs adgang kan have betydning ved valg mellem lægemidlerne.

Agalsidase beta og migalastat, som er ligestillet med pegunigalsidase alfa, er ikke anbefalet, da Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem lægemidternes effekt og omkostninger. Agalsidase alfa, som jf. [Opsummering af evidensgennemgang vedr. lægemidler til Fabrys sygdom](#) er i kategorien "overvej", er ligeledes ikke anbefalet, da Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem lægemidlets effekt og omkostninger.

Tabel 1. Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedr. lægemidler til patienter med Fabrys sygdom med en targeterbar mutation

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform
Anvend som 1. valg til mindst 70 % af patienterne*	Elfabrio (pegunigalsidase alfa)	1 mg/kg** hver 2. uge

* Procentsatsen beskriver den andel af populationen, der som minimum bør opstarte behandling med 1. valget.

** Gennemsnitlig vægt for en patient er 75 kg.



Patienter med Fabrys sygdom uden en targeterbar mutation (jf. klinisk spørgsmål 2)

Tabel 2 viser rangeringen af de klinisk ligestillede lægemidler i kategorien "anvend".

Elfabrio (pegunigalsidase alfa) er 1. valg til mindst 90 % af patienterne uden en targeterbar mutation, som opstarter behandling for Fabrys sygdom.

Efterlevelseshøjden er sat til 90 %, da der er marginal forskel på virkningsprofil og administrationsveje for de to ligestillede lægemidler.

Agalsidase beta, som er ligestillet med pegunigalsidase alfa, er ikke anbefalet, da Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem lægemidlets effekt og omkostninger. Agalsidase alfa, som jf. [Opsummering af evidensgennemgang vedr. lægemidler til Fabrys sygdom](#) er i kategorien "overvej", er ligeledes ikke anbefalet, da Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem lægemidlets effekt og omkostninger.

Tabel 2. Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedr. lægemidler til patienter med Fabrys sygdom uden en targeterbar mutation

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform
Anvend som 1. valg til mindst 90 % af patienterne*	Elfabrio (pegunigalsidase alfa)	1 mg/kg** hver 2. uge

* Procentsatsen beskriver den andel af populationen, der som minimum bør opstarte behandling med 1. valget.

** Gennemsnitlig vægt for en patient er 75 kg.



Baggrund

Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedrørende Fabrys sygdom er baseret på følgende dokumenter, som er tilgængelige på Medicinrådets hjemmeside.

- [Medicinrådets evidensgennemgang vedrørende lægemidler til Fabrys sygdom - version 1.0](#)
- [Opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang vedrørende lægemidler til Fabrys sygdom - version 1.0](#)
- [Medicinrådets omkostningsanalyse vedrørende lægemidler til behandling af Fabrys sygdom - version 2.0](#)

I omkostningsanalysen er de behandlingsrelaterede omkostninger for både de anbefalede og ikke-anbefalede lægemidler til behandling af Fabrys sygdom med en targeterbar mutation og uden en targeterbar mutation opgjort. Herudover er omkostninger forbundet med skift af patienter til et billigere lægemiddel opgjort.

I Medicinrådets evidensgennemgang i afsnit 5 om "Øvrige forhold" findes en detaljeret beskrivelse af:

- Kriterier for opstart af behandling
- Skift mellem præparater
- Kriterier for seponering eller dosisjustering
- Monitorering af behandling.

Baggrundsdokumenterne er udarbejdet i samarbejde med Medicinrådets fagudvalg vedr. medfødte stofskiftesygdomme. Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets hjemmeside: [Fagudvalget vedr. medfødte stofskiftesygdomme](#).



Versionslog

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	26. marts 2025	Godkendt af Medicinrådet.

Medicinrådets sekretariat

Medicinrådet Dampfærgevej 21-23, 3. sal
2100 København Ø

+ 45 70 10 36 00

medicinraadet@medicinraadet.dk

www.medicinraadet.dk