

Referat

Mødetitel	107. rådsmøde i Medicinrådet
Dato	3. september 2025
Sted	Danske Regioner

Deltagere

- Birgitte Klindt Poulsen (forperson)
- Jannick Brennum (næstforperson)
- Kirsten Wisborg
- Peder Gunner Fabricius
- Søren Pihlkjær Hjortshøj
- Peter Sørensen
- Tonny Studsgaard Petersen
- Zandra Nymand Ennis
- Christine Dinsen-Andersen
- Anne Lene Riis
- Ann-Britt Eg Hansen
- Anni Ravnsbæk Jensen
- Dorte Gyrd-Hansen
- Jan Sørensen
- Lisbeth Høeg-Jensen

Observatører

- Ida Sofie Jensen
- Dorthe Bartels
- Kirstine Moll Harboe

Afbud fra Rådet

- Maria Krüger
- Jens Friis-Bak
- Hanne Lomholt Larsen
- Morten Freil

Mødedeltagere fra sekretariatet

Søren Gaard, Laura Toftegaard Pedersen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jonas Stidsborg, Camilla Nybo Holmberg (referent), Ehm Andersson Galijatovic (referent), Heidi Møller Johnsen, Sofie Bache og Karen Agerbæk Jørgensen.

Velkomst

Næstforperson Jannick Brennum bød velkommen til det 107. rådsmøde i Medicinrådet.

Næstforpersonen udtrykte sin anerkendelse af Ida Sofies Jensens indsats i Medicinrådet i forbindelse med hendes fratræden fra Lif og takkede for hendes store engagement og værdifulde bidrag.

Derudover informerede næstforpersonen om, at formandskabet vil deltage i bestyrelsesmødet hos Danske Regioner den 25. september til en årlig statusdrøftelse.

Næstforpersonen gav status vedr. nirsevimab, som Medicinrådet anbefalede som forebyggende behandling mod RS-virus til præmature og sårbare spædbørn i januar 2025. Sanofi har tidligere ikke ønsket at levere nirsevimab til denne population, men kan nu levere et fast antal pakninger til den kommende RSV-sæson til disse børn. Dette pakningsantal ligger væsentligt over det forventede forbrug i denne spædbørnsgruppe, og Amgros skal derfor forpligte sig til at købe flere pakninger, end der umiddelbart er behov for. Derfor vil den reelle pris pr. behandling blive væsentligt højere end den pris, som lå til grund for Medicinrådets tidligere anbefaling. Sekretariatet vil på den baggrund genberegne omkostningseffektiviteten for denne population og forelægge det for Rådet på et kommende rådsmøde.

Næstforpersonen informerede også om en henvendelse fra Johnson & Johnson vedr. anbefalingen af daratumumab i kombination med lenalidomid og dexamethason til 1. linje knoglemarvskræft og dens relation til den eksisterende lægemiddelrekommendation indenfor området. Medicinrådets behandlingsvejledning for denne patientpopulation er under opdatering.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Anbefaling: Fenfluramin (Fintepla) - Epileptiske anfald forbundet med Lennox-Gastaut syndrom

Fenfluramin blev drøftet på rådsmødet den 18. juni 2025, hvor Rådet bl.a. ønskede en opstramning af opstarts-, monitorerings- og seponeringskriterierne. Sagen har været i clock-stop siden.

Sekretariatet præsenterede vurderingen, de foreslåede opstart- og seponeringskriterier, en deskriptiv sammenligning af effekten hos patienter med Dravet syndrom og Lennox-Gastaut syndrom og nuværende erfaring med enkeltbrugtagningstilladelser fra Epilepsihospitalet Filadelfia.

Fagudvalget mener, at fenfluramin vil være en god behandlingsmulighed for en del patienter med Lennox-Gastaut syndrom. Selvom patienter ikke bliver anfaldsfrie ved behandlingen, har det stor betydning for denne patientgruppe, at antallet af anfald bliver reduceret, og patientgruppen har i dag ikke gode behandlingsmuligheder. Fagudvalgsformand Jakob Christensen nævnte, at der ikke er kommet nye signaler på bivirkninger i open-label studier.

Rådet drøftede start- og stopkriterierne med fagudvalgsformanden. Rådet understregede vigtigheden af, at der skal være en vedvarende anfaldsreducerende effekt som følges op igennem hele behandlingsperioden, og at der skal seponeres ved utilstrækkelig effekt.

Rådet drøftede sygdommens alvorlige forløb, byrden af at opleve et stort antal drop-anfald, samt iboende udfordringerne ved at måle livskvalitet hos disse patienter og heraf stor usikkerhed i den sundhedsøkonomiske analyse.

Med fagudvalgets foreslåede kriterier for seponering lagde Rådet vægt på, at behandlingen kun vil blive givet til patienter, som har vedvarende klinisk relevant anfaldsreduktion. Rådet lagde dog også vægt på, at behandlingen er meget dyr, og ønskede, at Amgros skal undersøge, om det er muligt at indgå en bedre prisaftale med virksomheden.

Rådet satte derfor sagen i yderligere clock-stop.

Punkt 3

Godkendelse: Godkendelse af tværgående omkostningsanalyse for PD(L)1-hæmmere

Sekretariatet præsenterede den tværgående omkostningsanalysen for PD(L)1-hæmmere, som fremadrettet vil udgøre grundlaget for omkostningsanalyser ved ligestilling af PD(L)1-hæmmere. Omkostningsanalyse skal støtte regionerne i deres valg af billigste behandling på et område, der er forbundet med betydelig samlet budgetpåvirkning.

Det er tidligere blevet besluttet, at Medicinrådet ikke vil udarbejde en lægemiddelrekommendation for PD(L)1-hæmmere. I stedet anbefaler Medicinrådet, at regionerne benytter det lægemiddel, der for dem er forbundet med de laveste omkostninger.

Rådet udtrykte stor tilfredshed med den gennemsigtighed, som omkostningsanalysen bidrager med for både virksomhederne og regionerne. Omkostningsanalysen vil sammen med støtteværktøjet fra Amgros hjælpe regionerne med at afgøre, hvilken behandling der er forbundet med de laveste omkostninger.

Rådet kom med en række forslag til, hvordan omkostningsanalysen kan udbygges ved næste opdatering. Der blev blandt andet udtrykt ønske om inkludering af hjemmebehandling samt behandlinger, der gives i kombination med kemoterapi.

Punkt 4

Anbefaling: Ribociclib (Kisqali) - Brystkræft

Sekretariatet præsenterede vurderingen vedrørende ribociclib (Kisqali) til behandling af brystkræft.

Fagudvalgsforpersonen Hanne Melgaard Nielsen beskrev, at fagudvalget var enige i, at de tilgængelige data kun viser en klinisk relevant effekt hos monarchE-patienter, hvilket dog er forbundet med den ulempe, at en del patienter med ≥ 4 positive lymfeknuder ikke kan identificeres pga. manglende aksilrømning. Dette kan imødekomes ved at anbefale ribociclib jf. EMA-indikationen, hvilket ikke kræver kendskab til det samlede antal positive lymfeknuder i armhulen. Risikoen vil dog være, at en væsentlig del af patienterne risikerer at blive overbehandlet.

Rådet drøftede udfordringen med at identificere patienterne med ≥ 4 positive lymfeknuder i dansk klinisk praksis. Rådet vurderede at der er behov for en anbefaling, der minimerer risikoen for overbehandling, samtidig med at behandlingen anbefales til de patienter, der har størst gavn af behandling.

Rådet spurgte ind behandlingsvarigheden for ribociclib versus abemaciclib, herunder om det er nødvendigt med 3 års behandling med ribociclib. Rådet spurgte yderligere ind til genbehandling med CDK4/6-hæmmere ved recidiv efter adjuverende behandling.

I den samlede vurdering lagde Rådet vægt på, at adjuverende ribociclib til patienter med størst risiko for tilbagefald har sammenlignelig effekt som den nuværende behandling med adjuverende abemaciclib, og at de to behandlinger er prissat på niveau med hinanden. Derfor anbefales adjuverende ribociclib som mulig standardbehandling til patientgruppen. Rådet anbefaler regionerne at anvende den behandling, der samlet set har de laveste omkostninger.

Medicinrådets anbefaling gælder for en specifik gruppe af patienter, som kan identificeres uden at fjerne lymfeknuderne i armhulen. Af disse vil nogle tilhøre gruppen af patienter med lavere risiko for tilbagefald, og anbefalingen giver derfor en lille risiko for overbehandling af disse patienter, hvor effekten er beskeden. Medicinrådet vurderer dog, at denne risiko opvejes af, at anbefalingen samtidig dækker flest muligt af patienterne, som har højest risiko for tilbagefald, uden at patienterne skal have fjernet lymfeknuderne i armhulen.

For den samlede gruppe af patienter med lavere risiko for tilbagefald, lægger Rådet vægt på, at effekten er for lille til, at fordelene opvejer ulemperne og omkostningerne, og derfor anbefales behandlingen ikke til denne gruppe.

Punkt 5

Planlagt revurdering: Tucatinib (Tukysa) i komb. med trastuzumab og capecitabin

Sekretariatet præsenterede den planlagte revurdering på tucatinib i kombination med trastuzumab og capecitabin til behandling af lokalt fremskreden inoperabel eller metastatisk HER2+ brystkræft efter progression på to HER2-rettede behandlinger.

Sekretariatet præsenterede danske data om brugen af tucatinib fra Danish Breast Cancer Group (DBCG) med 2 årsopfølgning. Data viser, at effekten for danske patienter underbygger effekten at tucatinib observeret i de oprindelige studiedata.

Fagudvalgsformand Hanne Melgaard Nielsen havde ingen yderligere kommentarer.

Rådet drøftede de fremlagte data fra DBCG. Rådet bemærkede, at der var flere patienter, der i klinisk praksis har modtaget tucatinib uden at opfylde inklusion- og eksklusionskriterier i Medicinrådets anbefaling. 38 patienter havde modtaget tucatinib, hvoraf 9 patienter (ca. 24 %) ikke opfyldte anbefalingens kriterier. Rådet besluttede at opfordre regionerne til at sikre, at kriterierne for behandlingen med tucatinib bliver efterlevet i klinisk praksis.

Rådet vurderede, at de fremlagte data understøtter fastholdelsen af den nuværende anbefaling af tucatinib. Rådet fremhævede samtidigt, at det er et godt eksempel på at real world data kan give større sikkerhed for Rådets beslutninger, og Rådet vurderer derfor, at der ikke var behov for yderligere opfølgning.

Punkt 6

Anbefaling: Brexucabtagene autoleucel (Tecartus) - Akut leukæmi (B-ALL)

Sekretariatet præsenterede vurderingen vedrørende brexucabtagene autoleucel (Tecartus) til behandling af akut leukæmi (B-ALL).

Fagudvalgsforperson Kim Theilgaard-Mönch beskrev, at fagudvalget lige nu primært ser brexucabtagene autoleucel (brexu-cel) som en mulighed for at behandle yngre R/R ALL-patienter, så de opnår den nødvendige remission til at kunne komme i betragtning til allogen stamcelletransplantation, og dermed få en mulighed for længerevarende overlevelse. Det forventes, at 3 patienter årligt vil være kandidater til behandling med brexu-cel.

Rådet diskuterede det usikre datagrundlag, herunder vanskeligheden ved at sammenligne brexu-cel med den eksisterende behandling med kemoterapi. Brexu-cel er undersøgt i et singlearm-studie, hvilket gør det svært at vurdere den reelle gevinst. Det blev derudover påpeget, at fagudvalgets ønske om at anvende brexu-cel til yngre ALL-patienter med henblik på at de kan få allogen stamcelletransplantation, adskiller sig fra den måde studiet var designet på, og at der ikke findes data for effekten hos disse patienter. Dette er ligeledes ikke afspejlet tilstrækkeligt i den sundhedsøkonomiske analyse.

I den samlede vurdering lagde Rådet vægt på, at brexu-cel kan forlænge patienternes liv sammenlignet med kemoterapi, men behandlingen ser ikke ud til at kunne kurere patienterne. Sammenligningsgrundlaget er meget usikkert, og den reelle gevinst ved brexu-cel kan være mindre end estimeret. Brexu-cel er meget dyrere end den eksisterende behandling med kemoterapi, og Rådet vurderer, at meromkostningerne ikke er rimelige i forhold til den store usikkerhed der er om sundhedsgevinsten. Derfor anbefaler Rådet ikke brexu-cel som mulig standardbehandling. Rådet opfordrer virksomheden til at vende tilbage med en lavere pris eller en bedre prisaftale.

Punkt 7

Direktørens meddelelser

Direktør Søren Gaard orienterede om ledelsens strategiseminar med forpersonerne og drøftelser med formandskabet med fokus på almen praksis og udvikling af behandlingsvejledninger.

Direktøren orienterede om en dialog med Kræftens Bekæmpelse om de nye anbefalingstekster, hvor der var ros til sekretariatets arbejde med at gøre anbefalingerne mere transparente.

Direktøren oplyste desuden, at Lif i sidste uge har fremsat ønske om en evaluering af Folketingets principper for Medicinrådets arbejde.

Direktoratet for Medisinske Produkter (DMP) fra Norge besøger i den kommende uge Medicinrådets sekretariat for at lære af Medicinrådets processer, der blev indført i 2024, og opnå indsigt i hvordan Medicinrådet har arbejdet med robusthed og effektivitet i sagsbehandling. Næstforpersonen vil ligeledes deltage i mødet med henblik på erfaringsudveksling, herunder en drøftelse af hvordan Medicinrådet og DMP håndterer den stigende udfordring med usikkerhed i beslutningsgrundlaget.

Afslutningsvis orienterede direktøren om, at næste rådsmøde den 24. september bliver afholdt virtuelt grundet en kort dagsorden.

Punkt 8

Anbefaling: Nemolizumab (Nemluvio) - Moderat til svær prurigo nodularis, som er kandidater for systemisk behandling

Sekretariatet præsenterede vurderingen vedrørende nemolizumab (Nemluvio) til behandling af moderat til svær prurigo nodularis, som er kandidater til systemisk behandling.

Fagudvalgsforpersonen Kristian Fredløv Mose beskrev sygdommens karakteristik, og at nemolizumab og dupilumab kan betragtes som ligestillede, og at de kan anvendes efter hinanden pga. forskel i target/virkningsmekanisme. Dog bør patienter med samtidig astma ikke behandles med nemolizumab.

Rådet drøftede overførbare af effekten fra studier til dansk klinisk praksis og sammenligneligheden mellem studier ift. steroidbehandling.

Rådet drøftede også om nemolizumab og dupilumab bør kunne bruges efter hinanden ved manglende effekt. Rådet lagde vægt på, at der ikke er evidens for, at der er effekt af at give behandlingerne efter hinanden og vurderede derfor, at dette ikke kan anbefales.

I den samlede vurdering lagde Rådet vægt på, at der ikke er observeret en forskel mellem de to behandlinger, og at omkostningerne ikke er markant forskellige. Derfor anbefalede Medicinrådet nemolizumab med de samme start- og stopkriterier som for dupilumab. Regionerne anbefales at bruge den af behandlingerne, der har de laveste samlede omkostninger.

Punkt 9 og 10

Direkte indplacering i behandlingsvejledning: Marstacimab (Hypavzi) og Concizumab (Alhemo) - Hæmofili A og B

Fagudvalgsforperson Eva Funding præsenterede de kliniske data vedrørende marstacimab (Hypavzi) til behandling af hæmofili A og B. Fagudvalgsforpersonen beskrev, at marstacimab ikke kan ligestilles med emicizumab for hæmofili A, men derimod overvejes til patienter, der ikke kan tåle emicizumab. For hæmofili B kan marstacimab anvendes til patienter, der har complianceproblemer eller vanskelig veneadgang. Fagudvalgets begrundelse for ikke at ligestille marstacimab med emicizumab er manglende viden om sikkerhed og håndtering ved akut sygdom og større kirurgi (pauseres mindst 6 dage før indgrebet), risiko for trombose hos patienter med risikofaktorer, manglende erfaring med skift fra emicizumab, der muligvis bør seponeres 5-6 måneder inden marstacimab påbegyndes og sparsomme sikkerhedsdata sammenlignet med eksisterende behandling.

Fagudvalgsforperson Eva Funding præsenterede derefter de kliniske data vedrørende concizumab (Alhemo) til behandling af hæmofili A og B. Fagudvalgsforpersonen beskrev, at concizumab ikke kan ligestilles med emicizumab for hæmofili A, men derimod overvejes til patienter, der ikke kan tåle emicizumab. For hæmofili B kan concizumab anvendes som profylaktisk hjemmebehandling til patienter med inhibitor indtil patienten har genvundet tolerance overfor FIX.

Rådet drøftede det nuværende prisniveau og de fremadrettede konkurrencemuligheder.

Rådet godkendte den direkte indplacering af marstacimab og concizumab i behandlingsvejledningerne for hæmofili A og B. Amgros sætter lægemidlerne i udbud og Rådet vil på baggrund af de lægemiddelpriiser som aftales i forbindelse med det kommende udbud vurdere, om marstacimab og concizumab skal anbefales og dermed indgå i lægemiddelrekommandationen for hæmofili A og B, som vil træde i kraft 1. maj 2026. Dette vil bero på en vurdering af om der er et rimeligt forhold mellem effekt og omkostninger.

Punkt 11 og 12

Behandlingsvejledning (opdatering): Hæmofili A og B (Opsummering)

Fagudvalgsforperson Eva Funding præsenterede udkast til opdateringen af Medicinrådets behandlingsvejledning for hæmofili A og B.

Fagudvalgsforpersonen beskrev, at *extended half life* lægemidlerne fremadrettet anbefales (indplaceres i anvend-kategorien) fremfor standard FVIII-lægemidlerne (som placeres i overvej-kategorien) til både profylakse og *on-demand* behandling. Dette svarer til nuværende kliniske praksis, hvor de fleste patienter behandles med *extended half life*-lægemidler.

Rådet godkendte de opdaterede opsummeringer til behandlingsvejledninger uden yderligere bemærkninger. Amgros udbyder lægemidlerne og Medicinrådet opdaterer dernæst lægemiddelrekommandationerne, som vil træde i kraft den 1. maj 2026.

Punkt 13

Anbefaling: Elafibranor (Iqirvo) - Primær biliær kolangitis som kombinationsbehandling med ursodeoxycholsyre eller som monoterapi

Sekretariatet introducerede vurderingen vedrørende elafibranor (Iqirvo) til behandling af primær biliær kolangitis som kombinationsbehandling med ursodeoxycholsyre eller som monoterapi.

Fagudvalgsformanden Peter Nissen Bjerring beskrev, at fagudvalget vurderer, at elafibranor ikke er et bedre alternativ end nuværende behandling med bezafibrat. Fagudvalget ser derfor ikke nogen grund til at anvende elafibranor. Fagudvalget bemærker, at fibrat-behandling er et vigtigt alternativ for patienter, der ikke opnår tilstrækkelig effekt af ursodeoxycholsyre (UDCA) alene.

Rådet drøftede de praktiske konsekvenser af, at bezafibrat ikke er markedsført i Danmark.

Rådet bemærkede, at elafibranor er 300 gange dyrere end den behandling, patienterne får i dag. Rådet vurderede derfor, at prisen på elafibranor er prissat urimelig højt og bemærkede samtidig, at virksamheden ikke har ønsket at tilbyde en rabat i forbindelse med vurderingen.

I den samlede vurdering lagde Rådet vægt på, at elafibranor ikke er en bedre behandling end bezafibrat, men koster langt mere. Selvom elafibranor ser ud til at have en gavnlig effekt på patienternes sygdomsudvikling og muligvis også på kløegener, når man sammenligner med ingen behandling, er det meget usikkert, hvad det betyder for patienternes forventede levetid og livskvalitet. Da elafibranor er prissat urimeligt højt, står meromkostningerne ikke i et rimeligt forhold til den begrænsede og usikre sundhedsgevinst, som behandlingen kan give. Derfor anbefaler Rådet ikke elafibranor som mulig standardbehandling.

Punkt 14

Skriftlig orientering

Intet til godkendelse.

Punkt 15

Eventuelt

Dorte Bartels orienterede kort om status på arbejdet i Amgros med at forhandle fortrolige priser til primærsektoren.

Næste rådsmøde i Medicinrådet er d. 24. september 2025. Rådsmødet afholdes virtuelt.