

Referat

Mødetitel	87. rådsmøde i Medicinrådet
Dato	24.01.2024
Sted	Danske Regioner (fysisk fremmøde)

Deltagere

- Jørgen Schøler Kristensen (formand)
- Birgitte Klindt Poulsen (næstformand)
- Kirsten Wisborg
- Jens Friis Bak (fraværende mellem kl. 11.15 og 13.00)
- Peder Gunner Fabricius (gik kl. 14.45)
- Zandra Nymand Ennis
- Tonny Studsgaard Petersen
- Christine Dinsen-Andersen
- Anne Lene Riis
- Dorte Gyrd-Hansen
- Morten Freil
- Lisbeth Høeg-Jensen

Observatører

- Dorthe Bartels
- Ida Sofie Jensen (kom kl. 10.50)
- Kristin Skougaard

Afbud fra Rådet

- Charlotte Birkmose Rotbøl
- Kim Brixen
- Rikke Søgaard
- Simon Tarp

Fra sekretariatet

Søren Gaard, Birgit Mørup, Katrine Valbjørn Lund (referent), Diana Milling Olsen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jane Skov, Pernille Winther Johansen, Ehm Andersson Galijatovic, Marie Louise Sjølie og Karen Agerbæk Jørgensen.

Ekstern konsulent: Steen Werner Hansen.

Formand Jørgen Schøler Kristensen bød velkommen til det 87. rådsmøde i Medicinrådet.

Formanden bød særligt velkommen til Birgitte Klindt Poulsen som næstformand og to nye rådsmedlemmer Tonny Studsgaard Petersen og Zandra Nymand Ennis.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Godkendelse af referat

Intet til godkendelse.

Punkt 3

Drøftelse: Oversigt over dyre lægemidler

Sekretariatet præsenterede en oversigt over dyre lægemidler.

Rådet drøftede oversigten med sekretariatet og dilemmaer ved at vurdere eksisterende dyre lægemidler af egen drift.

Rådet diskuterede disse lægemidlers effekt og betydningen af, at lægemidlerne ofte er til behandling af sjældne og tit meget alvorlige sygdomme med begrænsede behandlingsmuligheder.

Rådet drøftede særligt enzymerstatningsterapi, som er et terapiområde, hvor lægemidlerne er meget dyre og typisk anvendes i mange år. Inden for nogle sygdomme er der flere lægemidler til rådighed og derfor kan en samlet behandlingsvejledning for enzymerstatningsterapier til forskellige sygdomme medvirke til at skabe konkurrence inden for disse sygdomme. Samtidig kan der i behandlingsvejledningen opstilles tydelige opstarts- og seponeringskriterier, kriterier for dosisjustering, samt beskrives muligheder for at skifte mellem lægemidler.

Rådet diskuterede også muligheden for at indsamle data for alle patienter, der fx får enzymerstatningsterapi, så det er muligt at følge op på anvendelsen af disse meget dyre lægemidler.

Rådet besluttede, at der skulle udarbejdes principper for, hvordan Medicinrådet forholder sig til vurdering af nye dyre lægemidler, hvor nuværende standardbehandling (komparator) er meget dyr og ikke tidligere vurderet af Medicinrådet. Rådet besluttede også, at der skal udarbejdes en samlet behandlingsvejledning for enzymerstatningsterapier, og henstillede til, at de sygdomme, der først indarbejdes i behandlingsvejledningen, er

dem, hvor der allerede nu eller inden for kort tid er konkurrence på området, og at øvrige sygdomme indarbejdes løbende efter behov og ressourcer.

Punkt 4

Anbefaling: Pegunigalsidase alfa (Elfabrio) – Fabrys sygdom

Formanden oplyste, at sagsbehandlingstiden for denne sag havde været 32 uger og 2 dage.

Fagudvalgsformand Allan Bayat præsenterede det kliniske data vedrørende pegunigalsidase alfa til Fabrys sygdom, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og spurgte ind til løbende monitorering af behandlingseffekt, hvilke parametre der måles på og hvor ofte samt forventninger til aftagende effekt af behandlingen over tid.

Rådet spurgte også ind til anvendelse af dosisøgning ved antistofdannelse og mulighed for skift mellem de tilgængelige lægemidler. Rådet diskuterede endvidere opstarts- og seponeringskriterier samt usikkerhed om forventet overlevelsesgevinst.

Rådet drøftede i forlængelse af punkt 3, at Fabrys sygdom bør være det første sygdomsområde, der indarbejdes i den kommende behandlingsvejledning for enzymerstatningsterapier.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke pegunigalsidase alfa til voksne patienter (≥ 18 år) med Fabrys sygdom. Patienter med Fabrys sygdom har nedsat aktivitet af et enzym, som fører til, at bestemte fedtstoffer ikke kan nedbrydes og derfor ophobes i væv og organer. Pegunigalsidase alfa er en enzymerstatningsterapi, som erstatter det enzym, patienterne helt eller delvist mangler. For langt de fleste patienter er den nuværende behandling agalsidase beta, som også er en enzymerstatningsterapi.

Medicinrådet vurderer, at effekten af pegunigalsidase alfa er sammenlignelig med effekten af agalsidase beta vurderet på patienternes tab af nyrefunktion, reduktion i biomarkøren plasma lyso-Gb3 og forbedring i helbredsrelateret livskvalitet. Bivirkningerne ved de to behandlinger er ligeledes sammenlignelige.

Pegunigalsidase alfa er ligesom den nuværende behandling prissat urimeligt højt, og Medicinrådet kan derfor ikke anbefale behandlingen til den nuværende pris. I stedet opfordrer Medicinrådet lægemiddelvirksomheden til at vende tilbage med en mere rimelig pris.

For at skabe priskonkurrence på området for enzymerstatningsterapier, hvor lægemidlerne på nuværende tidspunkt er prissat uforholdsmæssigt højt, har Medicinrådet besluttet at udarbejde en behandlingsvejledning for enzymerstatningsterapier, hvori behandling af Fabrys sygdom også vil indgå.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 5

Anbefaling: Olaparib (Lynparza) i kombination med abirateron og prednisolon – prostatakræft

Formanden oplyste, at sagsbehandlingstiden for denne sag havde været 23 uger og 3 dage.

Fagudvalgets næstformand Jimmi Søndergaard præsenterede det kliniske data vedrørende olaparib i kombination med abirateron og prednisolon til metastatisk kastrationsresistent kræft i blærehalskirtlen, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med næstformanden og stillede særligt spørgsmål til effekten på overlevelse i patientpopulationen med BRCA-mutation og forventningen til andelen af langtidsoverlevende. Rådet drøftede usikkerheden i data og betydningen for estimerne i den sundhedsøkonomiske analyse. Rådet spurgte også ind til effekten af olaparib som monoterapi i senere behandlingslinjer.

Rådet drøftede mulighederne for en delvis anbefaling til patientpopulationen med BRCA-muteret metastatisk kastrationsresistent prostatakræft, da den observerede effekt kan tilskrives patientpopulationen med BRCA-mutation.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke olaparib i kombination med abirateron til behandling af patienter med metastatisk kastrationsresistent prostatakræft (mCRPC), som ikke er kandidater til kemoterapi.

For patienter med BRCA-muteret mCRPC vurderer Medicinrådet, at behandling med olaparib i kombination med abirateron sammenlignet med abirateron alene, som er den nuværende standardbehandling, kan udskyde tiden til sygdomsprogression og øge patienternes overlevelse, det er dog usikkert hvor længe.

Olaparib i kombination med abirateron er dyrere end nuværende standardbehandling. Samlet set vurderer Medicinrådet, at omkostningerne til behandlingen ikke er rimelige i forhold til usikkerheden om den dokumenterede effekt. Medicinrådet opfordrer lægemiddelvirksomheden til at vende tilbage med et bedre pristilbud.

For patienter uden BRCA-muteret mCRPC vurderer Medicinrådet, at det ikke er tilstrækkeligt dokumenteret, at behandlingen kan udskyde tiden til sygdomsprogression eller øge overlevelsen for patienterne.

For både patienter med og uden BRCA-muteret mCRPC gælder, at behandlingen med olaparib i kombination med abirateron giver flere bivirkninger end abirateron alene.

Rådsmedlemmerne fra Danske Patienter bemærkede, at de ikke fuldt ud kunne tilslutte sig flertallets beslutning om ikke at anbefale lægemidlet, men ville have foretrukket en delvis anbefaling til en afgrænset patientpopulation.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 6

Anbefaling: Efgartigimod alfa (Vyvgart) – myastenia gravis

Formanden oplyste, at sagsbehandlingstiden for denne sag havde været 15 uger og 1 dag.

Fagudvalgsformand Sonja Holm-Yildiz præsenterede det kliniske data vedrørende efgartigimod alfa til myastenia gravis, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og sekretariatet.

Rådet noterede sig, at resultaterne er usikre i forhold til, hvilken effekt der kan forventes hos de patienter, man vil behandle i dansk klinisk praksis. Rådet noterede sig også, at der potentielt er risiko for alvorlige bivirkninger ved gentagne behandlinger over lang sigt, og disse kendes ikke. Samtidig er lægemidlet meget dyrt.

Rådet besluttede på den baggrund følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke efgartigimod alfa som tillæg til standardbehandlingen for patienter med den sjældne autoimmune sygdom generaliseret myastenia gravis, som er seropositive over for antistoffer rettet mod acetylcholinreceptoren. Myastenia gravis er en neuromuskulær sygdom, som medfører udpræget udtrætning i flere muskelgrupper, hvilket bl.a. påvirker nakke, arme og ben og kan give patienterne tale-, tygge-, synke- og åndedrætsbesvær. Den nuværende standardbehandling består af acetylcholinesterasehæmmer, kortikosteroid og/eller non-steroid immunsuppressiva som monoterapi eller kombinationsterapi.

Tillæg af efgartigimod alfa kan reducere udtrætningen af musklerne og øge patienternes helbredsrelaterede livskvalitet. Efgartigimod alfa gives i serier af fire ugentlige infusioner, hvorefter behandlingen pauseres. Effekten er dog ikke vedvarende, og patienterne skal genbehandles, når symptomerne vender tilbage, typisk efter 4-6 ugers behandlingspause.

Efgartigimod alfa medførte få alvorlige bivirkninger i det kliniske studie. Der kan dog være en øget risiko for alvorlige infektioner, og bivirkninger ved længere tids behandling er ikke undersøgt.

Efgartigimod alfa er meget dyrt, særligt i forhold til at behandlingen forventes at være livslang. Medicinrådet vurderer, at prisen er urimelig høj i forhold til effekten af lægemidlet, og opfordrer derfor lægemiddelvirksomheden til at vende tilbage med en markant lavere pris.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 7

Anbefaling (egen drift): Baricitinib (Olumiant) – svær alopecia areata

Sekretariatet præsenterede habilitetserklæring for et fagudvalgsmedlem, som er udpeget i medfør af forvaltningslovens § 4, stk. 2. Vedkommende er vurderet inhabil, men er blevet medlem af fagudvalget, da vedkommende er uundværlig for gennemførelsen af arbejdet.

Fagudvalgsformand Lars Nielsen og fagudvalgsmedlem Kirsten Rønholt Stausholm præsenterede det kliniske data vedrørende baricitinib til svær alopecia areata, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede herefter anbefalingen og særligt baricitinibs bivirkningsprofil sammenholdt med, at der er tale om en ikke-dødelig sygdom. Desuden drøftede Rådet effektens størrelse og varighed og den manglende dokumentation for effekt på livskvalitet sammenholdt med prisen.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke baricitinib (Olumiant) til voksne patienter med svær alopecia areata (pletvist hårtab).

Baricitinib kan reducere hårtab sammenlignet med ingen behandling.

Behandlingen er forbundet med bivirkninger, hyppigst infektioner og forhøjet kolesterol i blodet. Hos patienter med øget risiko for kardiovaskulær eller malign sygdom kan der være øget risiko for alvorlige bivirkninger.

Omkostningerne ved behandling med baricitinib er højere end den nuværende behandling. Medicinrådet vurderer, at omkostningerne ved baricitinib ikke er rimelige i forhold til den dokumenterede effekt.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 8

Anbefalinger (revurderinger): Daratumumab i kombination med lenalidomid og dexamethason (DaraLenDex) til patienter med nydiagnosticeret myelomatose og Daratumumab i kombination med cyclophosphamid, bortezomib og dexamethason (Dara-CyBorD) til patienter med nydiagnosticeret systemisk AL amyloidose

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefalinger vedrørende daratumumab i kombination med lenalidomid og dexamethason (DaraLenDex) til patienter med nydiagnosticeret myelomatose samt daratumumab i kombination med cyclophosphamid, bortezomib og dexamethason (Dara-CyBorD) til patienter med nydiagnosticeret systemisk AL amyloidose.

Rådet drøftede betydningen af det nye pristilbud for omkostningerne og besluttede herefter ikke at ændre de gældende anbefalinger fra 2023.

Anbefalingerne kan ses her:

[Anbefaling vedr. daratumumab \(Darzalex\) i kombination med lenalidomid og dexamethason](#) (myelomatose)

[Anbefaling vedr. daratumumab \(Darzalex\) i kombination med bortezomib, cyclophosphamid og dexamethason](#) (amyloidose)

Punkt 9

Behandlingsvejledning: Immunglobulinsubstitution ved primær immundefekt (PID)

Fagudvalgsformand Jannik Helweg-Larsen præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning (som består af en evidensgennemgang og en opsummering) vedrørende immunglobulinsubstitution ved primær immundefekt (PID).

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og stillede spørgsmål til kriterier for seponering. Rådet havde enkelte konkrete spørgsmål til formuleringer i udkastene angående absolut og relativ indikation for behandling samt bemærkninger til klinisk praksis angående dosis af immunglobulinsubstitution.

Rådet godkendte med mindre ændringer herefter udkast til behandlingsvejledningen.

Medicinrådet offentliggør behandlingsvejledningen (evidensgennemgang og opsummering) på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Sekretariatet vil som næste trin udarbejde en omkostningsanalyse, der bl.a. vil værdisætte ekstra omkostninger ved skift af præparat. Omkostningsanalysen er fælles for primær og sekundær immundefekt.

Punkt 10

Lægemiddelrekommandation: Nyrekræft

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedr. lægemidler til nyrekræft.

Rådet drøftede udkastet med sekretariatet og stillede opklarende spørgsmål til den omkostningsanalyse, der ligger til grund for rekommandationen.

Rådet godkendte herefter lægemiddelrekommandationen.

Medicinrådet offentliggør lægemiddelrekommandationen på Medicinrådets hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 11

Drøftelse: Bæredygtighed i Medicinrådets vurderinger

Sekretariatet orienterede om, at sekretariatet er i gang med at undersøge mulighederne for at inddrage lægemidlers bæredygtighed i Medicinrådets vurderinger.

Rådet havde herefter en drøftelse af emnet og bakkede op om vigtigheden heraf.

Rådet afventer sekretariatets afdækning af området.

Punkt 12

Drøftelse: Nye lægemidler til Alzheimers

Sekretariatet orienterede om, at en del nye lægemidler til behandling af Alzheimers sygdom er under udvikling og de potentielle ressourcetræk, der kan være ved at tage dem i brug.

Rådets drøftelse omhandlede bl.a. disse nye lægemidlers potentiale og eventuelle ressourcetræk.

Rådet bakkede op om et evt. nordisk samarbejde om de faglige problemstillinger i de konkrete vurderinger af lægemidlerne.

Punkt 13

Drøftelse: Model for betingede anbefalinger

Sekretariatet præsenterede en revideret model for betingede anbefalinger og åbnede herefter for en drøftelse heraf.

Sekretariatet præsenterede forslag til revideret model for betingede anbefalinger, og Rådet diskuterede oplægget.

Rådet drøftede mulighederne for dataindsamling.

Formanden bad sekretariatet om at arbejde videre med modellen på baggrund af Rådets kommentarer.

Punkt 14

Formandskabets/direktørens meddelelser

Direktøren orienterede Rådet om status på implementeringen af HTA-forordningen.

Direktøren orienterede herefter om, at Medicinrådet har sendt bidrag til Danske Regioner vedr. svar på Folketingsspørgsmål om forsigtighedsprincippet.

Direktøren orienterede endvidere Rådet om afviklede møder, hvor formandskabet og/eller direktøren har deltaget.

Endelig gav direktøren Rådet en status på arbejdet med implementeringen af analysen af Medicinrådet.

Punkt 15

Skriftlig orientering

Intet til godkendelse.

Rådet havde modtaget følgende i skriftlig orientering:

- Faste oversigter
- Pressehenvendelser.

Punkt 16

Eventuelt

Næste rådsmøde i Medicinrådet er onsdag den 21. februar 2024.

Formanden orienterede om, at der planlægges to tematiske rådsmøder i foråret og efteråret 2024.