

Medicinrådets
lægemiddelrekommandation
og behandlingsvejledning
vedrørende lægemidler til
spinal muskelatrofi

Rek



Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner.

Medicinrådet udarbejder fælles regionale behandlingsvejledninger. Behandlingsvejledningerne indeholder vurderinger af, hvilke lægemidler der er mest hensigtsmæssige at behandle patienter med inden for et terapiområde. De danner dermed grundlag for ensartet høj kvalitet for behandling af patienter på tværs af sygehuse og regioner. Medicinrådet angiver kliniske rækkefølger af de inkluderede lægemidler på baggrund af en redegørelse for evidensen for klinisk effekt og sikkerhed.

Om Medicinrådets lægemiddelrekommandation

Lægemiddelrekommandationen er Medicinrådets prioriterede liste for brugen af lægemidler, når både de kliniske og økonomiske aspekter er sammenvejet. Medicinrådets lægemiddelrekommandation er udgivet sammen med Medicinrådets behandlingsvejledning.

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

Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato 29. april 2026

Ikrafttrædelsesdato 29. april 2026

Dokumentnummer 242142

Versionsnummer 1.4

© Medicinrådet, 2026
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 29. april 2026



Medicinrådets lægemiddelrekommandation og behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til spinal muskelatrofi

Formål

Medicinrådets lægemiddelrekommandation angiver, hvilke specifikke lægemidler det er mest hensigtsmæssigt at anvende til spinal muskelatrofi (SMA). Det sker på baggrund af Medicinrådets behandlingsvejledning og omkostningsanalyse vedrørende lægemidler til SMA. Klinisk ligestillede lægemidler er prioriteret ud fra deres totalomkostninger ved behandling i 10 år.

Børn med SMA type 1 og præsymptomatiske spædbørn

Medicinrådet vurderer, at nusinersen, onasemnogene abeparovvec og risdiplam som udgangspunkt er ligestillede til initial behandling hos minimum 70 % af præsymptomatiske spædbørn med op til 4 SMN2-kopier og børn med nydiagnosticeret SMA type 1 (symptomdebut inden alder 6 måneder og vægt under 13,5 kg). Dog er onasemnogene abeparovvec kun godkendt af EMA til patienter med op til 3 SMN2-kopier.

Nogle familier til præsymptomatiske spædbørn eller små børn med SMA 1 vil foretrække éngangsbehandling med onasemnogene abeparovvec frem for potentiel livslang behandling med nusinersen eller risdiplam. Andre vil lægge vægt på bekymringer ift. risiko for alvorlige og potentielt dødelige bivirkninger eller større uvished om langtidseffekt og langtidsbivirkninger af genterapien, idet man ikke bare kan stoppe behandlingen igen, hvis der senere opstår uventede bivirkninger. Herudover kan mulighed for compliance til behandlingen være af betydning for valget af behandling. Sådanne præferencer er afspejlet i efterlevelsesholdningen på 70 %.

Nusinersen dosis

Ved opstart med nusinersen bør denne gruppe, ud fra et forsigtighedsprincip, starte med laveste støddosis (12 mg). Hvis barnet tåler behandlingen, vil det eventuelt senere kunne skifte til en højere vedligeholdelsesdosis (28 mg).



Tablet 1. Medicinrådets lægemiddelrekommandation for børn med SMA type 1 og præsymptomatiske spædbørn

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform	Forbehold for at vælge lægemidlet
Anvend som 1. valg til mindst 70 % af patienterne*	Evrysdi (risdiplam)	Oral opløsning, der indtages dagligt	-
Anvend som 2. valg	Spinraza (nusinersen) 12 mg eller 50/28 mg	Injektion i rygmærskanalen 3 gange om året efter opstartsdosis	Start med lav støddosis (12 mg)
Anvend som 3. valg	Zolgensma (onasemnogene abeparovvec)	Infusion givet som engangsbehandling	Kun børn med vægt under 13,5 kg og højst 3 SMN2-kopier

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

Børn med SMA type 2 og 3 under 6 år

Medicinrådet vurderer, at risdiplam og nusinersen som udgangspunkt er ligestillede til initial behandling hos minimum 80 % af patienterne. For de sidste 20 % kan der være forskellige faktorer, der har betydning for valget. Nusinersen kan fx være uhensigtsmæssigt for patienter, der er respiratorisk dårlige og skal i anæstesi i forbindelse med behandlingen, eller patienter med svær skoliose. Risdiplam kan fx være uhensigtsmæssigt, hvis patienterne i forvejen har kendte complianceproblemer.

Nusinersen dosis

Ved opstart med nusinersen bør denne gruppe, ud fra et forsigtighedsprincip, starte med laveste støddosis (12 mg). Hvis barnet tåler behandlingen, vil det eventuelt senere kunne skifte til en højere vedligeholdelsesdosis (28 mg).

Tablet 2. Medicinrådets lægemiddelrekommandation for børn med SMA type 2 og 3 under 6 år

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform	Forbehold for at vælge lægemidlet
Anvend som 1. valg til mindst 80 % af patienterne*	Evrysdi (risdiplam)	Børn < 2 år: Oral opløsning Børn > 2 år og vægt mindst 20 kg: Tablet eller oral opløsning Tabletten kan opløses i vand, men må ikke gives i sonde Begge skal indtages dagligt	Kendte complianceproblemer



Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform	Forbehold for at vælge lægemidlet
Anvend som 2. valg	Spinraza (nusinersen) 12 mg eller 50/28 mg	Injektion i rygmarskanalen 3 gange om året efter opstartsdosis	Forudsat, at den intratekale injektion er sikker, teknisk mulig og ikke kontraindiceret Start med lav støddosis (12 mg)

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

Børn og unge med SMA type 2 og 3 (6-17 år)

Medicinerådet vurderer, at risdiplam og nusinersen som udgangspunkt er ligestillede til initial behandling hos minimum 80 % af patienterne. For de sidste 20 % kan der være forskellige faktorer, der har betydning for valget. Nusinersen kan fx være uhensigtsmæssigt for patienter, der er respiratorisk dårlige og skal i anæstesi i forbindelse med behandlingen, eller patienter med svær skoliose. Risdiplam kan fx være uhensigtsmæssigt, hvis patienterne i forvejen har kendte complianceproblemer.

Ved opstart med nusinersen, kan begge dosisregimer anvendes.

Tabel 3. Medicinerådets lægemiddelrekommandation for børn og unge med SMA type 2 og 3 (6-17 år)

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform	Forbehold for at vælge lægemidlet
Anvend som 1. valg til mindst 80 % af patienterne*	Evrysd (risdiplam)	Tablet eller oral opløsning, der indtages dagligt Tabletten kan opløses i vand, men må ikke gives i sonde	Kendte complianceproblemer
Anvend som 2. valg	Spinraza (nusinersen) 12 mg eller 50/28 mg	Injektion i rygmarskanalen 3 gange om året efter opstartsdosis	Forudsat, at den intratekale injektion er sikker, teknisk mulig og ikke kontraindiceret

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



Voksne 18-25 år med SMA type 2 og 3

Medicinrådet anbefaler nusinersen eller risdiplam til voksne op til 25 år, som opfylder Medicinrådets kriterier for opstart af behandling. Ved opstart med nusinersen kan begge dosisregimer anvendes.

Tabel 4. Medicinrådets lægemiddelrekommandation for unge voksne med SMA type 2 og 3 (18-25 år)

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform	Forbehold for at vælge lægemidlet
Anvend som 1. valg til mindst 80 % af patienterne*	Evrysdi (risdiplam)	Tablet eller oral opløsning, der indtages dagligt	Kendte compliance-problemer
Anvend som 2. valg	Spinraza (nusinersen) 12 mg eller 50/28 mg	Injektion i rygmærskanalen 3 gange om året efter opstartsdosis	Forudsat, at den intratekale injektion er sikker, teknisk mulig og ikke kontraindiceret

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

Voksne over 25 år med SMA type 2 og 3

Medicinrådet anbefaler risdiplam til voksne over 25 år, som opfylder Medicinrådets kriterier for opstart af behandling.

Medicinrådet anbefaler ikke nusinersen til voksne over 25 år, da den tilbudte pris fortsat er meget høj.

Tabel 5. Medicinrådets lægemiddelrekommandation for voksne over 25 år

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering og dispenseringsform	Forbehold for at vælge lægemidlet
Anvend som 1. valg	Evrysdi (risdiplam)	Tablet eller oral opløsning, der indtages dagligt	Kendte compliance-problemer



Baggrund

Indplacering af nusinersen højdosisregime (50/28 mg)

Nusinersen højdosisregime (50/28 mg) er godkendt af EU kommissionen den 9. januar 2026. Det eksisterende standarddosisregime (12 mg) vil fortsat være tilgængeligt. Forskellen på de to dosisregimer er vist i tabel 6.

Tabel 6. Nusinersen dosisregimer

Nusinersen	Opstart	Vedligeholdelse
Standarddosisregime	4 støddoser á 12 mg (dag 0, 14, 28, 63)	12 mg hver 4. måned
Højdosisregime	2 støddoser á 50 mg (dag 0, 14)	28 mg hver 4. måned

Medicinerådet vurderer, at højdosisregime af nusinersen (50/28 mg) kan ligestilles med det nuværende dosisregime nusinersen (12 mg).

- Effekten er mindst lige så god som det nuværende dosisregime.
- Der er ikke påvist flere bivirkninger eller nye sikkerhedssignaler (og EMA har derfor vurderet, at sikkerheden af højdosisregimet er tilstrækkeligt belyst til at opnå en ubetinget markedsføringstilladelse).

Data for nyfødte børn er dog meget begrænset, og da det samtidig er vanskeligt at identificere alvorlige bivirkninger (fx hydrocephalus), bør nyfødte og evt. småbørn op til 6 år, ud fra et forsigtighedsprincip, opstartes med den lave dosis.

Begge dosisregimer kan anvendes hos børn og unge (6-17 år) og voksne. Ved opstart med højdosisregimet gives kun to støddoser fremfor fire, hvilket kan være en fordel for både patient og sygehus, som sparer tid, penge og bivirkninger forbundet med den intratekale administration.

Indplacering af risdiplam i tabletform

Risdiplam i tabletform er godkendt af EU-kommissionen d. 2. juni 2025 til børn over 2 år der vejer mere end 20 kg. Prisen er den samme som den orale opløsning, derfor anbefaler Medicinerådet tabletterne på lige fod med den orale opløsning.

Vurdering af, om målpopulationen skal udvides

Medicinerådets vurdering er uændret for de målpopulationer, som Medicinerådet tidligere har anbefalet de tre lægemidler til (se Medicinerådets tidligere anbefalinger [her](#)).

Siden da er der kommet flere studier af voksne og børn over seks år, der tyder på en stabilisering af sygdommen. Der er dog primært tale om studier uden kontrolgruppe og af meget lav kvalitet. Medicinerådet vurderer derfor, at evidensen for effekten fortsat er svag, særligt for de voksne.



Børn og unge med SMA type 2 og 3 (6-17 år)

Denne patientgruppe er ikke omfattet af Medicinrådets tidligere anbefalinger for nusinersen og risdiplam. Medicinrådet vurderede i juni 2023, på baggrund af ny evidens og reduceret pris, at lægemidlerne kan anbefales til børn og unge med SMA type 2 og 3.

Voksne 18-25 år med SMA type 2 og 3

Denne patientgruppe er ikke omfattet af Medicinrådets tidligere anbefalinger for nusinersen og risdiplam.

Medicinrådet vurderede i juni 2023, på baggrund af ny evidens og reduceret pris, at lægemidlerne kan anbefales til voksne op til 25 år, som opfylder Medicinrådets kriterier for opstart af behandling.

Voksne over 25 år med SMA type 2 og 3

Denne patientgruppe er ikke omfattet af Medicinrådets tidligere anbefalinger for nusinersen og risdiplam.

Medicinrådet vurderede i august 2024, på baggrund af en yderligere reduceret pris, at risdiplam kan anbefales til voksne over 25 år, som opfylder Medicinrådets kriterier for opstart af behandling.

Medicinrådet anbefaler fortsat ikke opstart af behandling med nusinersen hos voksne over 25 år, da den tilbudte pris fortsat er meget høj.

Indikationsudvidelse for risdiplam til spædbørn under 2 måneder

EMA besluttede den 20. juli 2023 at udvide indikationen for risdiplam, så også spædbørn under 2 måneder er omfattet. Derfor anbefalede Medicinrådet i august 2023 også risdiplam til denne aldersgruppe i en dosis på 0,15 mg/kg.

Øvrige forhold

Opstart af behandling

Kriterier for opstart af behandling er baseret på de godkendte indikationsområder og Medicinrådets vurdering af den bagvedliggende evidens for de enkelte lægemidler. Patienten tilbydes som udgangspunkt dét lægemiddel, der bliver førstevalg i Medicinrådets lægemiddelrekommandation.

Præsymptomatiske spædbørn

- Genetisk verificeret biallel mutation i SMN1-genet og med højst 4 SMN2-kopier
- Ingen tegn på klinisk sygdom ved fødslen
- Alder < 6 uger ved start af behandling (start så tidligt som muligt).



SMA type 1

- Klinisk diagnosticeret og genetisk verificeret SMA type 1 (symptomdebut inden 6 måneder)
- Ikke i permanent ventilationsbehandling (tracheostomi eller NIV > 16 timer/døgn i mere end 21 dage).

SMA type 2 og 3

Børn under 6 år

- Klinisk diagnosticeret og genetisk verificeret SMA type 2 eller 3
- Ikke i permanent ventilationsbehandling (tracheostomi eller NIV > 16 timer/døgn i mere end 21 dage).

Børn og unge 6-17 år

- Klinisk diagnosticeret og genetisk verificeret SMA type 2 eller 3
- Ikke i permanent ventilationsbehandling (tracheostomi eller NIV > 16 timer/døgn i mere end 21 dage).

Voksne (18-25 år og over 25 år)

- Klinisk diagnosticeret og genetisk verificeret SMA type 2 eller 3
- HFMSE-score \leq 63 point
- RULM-score \geq 2 point
- Ikke i permanent ventilationsbehandling (tracheostomi eller NIV > 16 timer/døgn i mere end 21 dage).

HFMSE-skalaen går fra 0 til 66 point. En HFMSE-score på 63 point eller mindre betyder således, at patienten har en dokumenteret sygdomsprogression på minimum 3 point (svarende til Medicinrådets definition af mindste klinisk relevante forskel). Et fald på 3 point kan fx betyde, at patienten ikke kan hoppe 5 cm på samlede fødder og kun kan gå 2 trappetrin uden at støtte sig til gelænder eller andet.

RULM-skalaen går fra 0 til 37 point. En RULM-score på 2 point (svarende til Medicinrådets definition af mindste klinisk relevante forskel) er et udtryk for, at patienten har et funktionsniveau, som potentielt kan bevares. En score på 2 point kan fx betyde, at patienten kan anvende en blyant eller lægge en hånd op på bordet.

Skift mellem lægemidlerne

I praksis har fagudvalget haft erfaring med skift fra nusinersen til risdiplam. Ved sidste status (august 2024) var der endnu ikke patienter, der var skiftet den modsatte vej. Det er ikke afklaret, om patienter, der skifter tilbage til nusinersen, skal starte med en ny loading dose, eller om de kan fortsætte på vedligeholdelsesdosis.



Fagudvalget vurderer, at der i nogle tilfælde kan være klinisk rationale i at skifte, fx hvis der er praktiske udfordringer eller komplikationer, eller patienten oplever betydelige bivirkninger og derfor med fordel kan forsøge skift til et lægemiddel med en anden bivirkningsprofil.

Hvis patienten planlægger at få børn, kan et evt. skift til nusinersen overvejes som alternativ til at pausere behandlingen med risdiplam. Såfremt lægen sammen med patienten beslutter at behandle med nusinersen under graviditet og amning, bør der, ud fra et forsigtighedsprincip, anvendes laveste opstart- og vedligeholdelsesdosis af nusinersen (dvs. 12 mg).

Fagudvalget har diskuteret, om det er en mulighed, at patienter skifter til billigste lægemiddel efter et udbud, hvis det kan resultere i øget konkurrence og deraf lavere priser. Fagudvalget vurderer, at der ikke er faglige argumenter imod at skifte ift. effekt og sikkerhed. Et skift, som ikke er fagligt begrundet, kan dog være til ulempe og evt. stressende for den enkelte patient grundet de meget forskellige administrationsmåder, hvilket potentielt også kan få betydning for compliance til behandlingen. Fagudvalget vurderer dog, at det generelt vil være til fordel for patienterne, hvis lavere priser medfører, at flere patienter kan tilbydes behandling. Besparelsen ved skift af behandlingen skal dog som minimum opveje de omkostninger og det besvær, som skiftet er forbundet med for patient og sygehus, fx omkostninger til ekstra sygehusbesøg og eventuel ny støddosis for patienter, der skifter tilbage til nusinersen eller skifter fra nusinersen 12 mg til 28 mg.

Tabel 7. Muligheder for skift

Skift fra:	Skift til:	OA	Nusinersen	Risdiplam
OA	-	-	Kombinationsbehandling er ikke indiceret	Kombinationsbehandling er ikke indiceret
Nusinersen	Ikke klinisk aktuelt	-	-	Ved uacceptable bivirkninger eller komplikationer til lumbalpunktur eller anæstesi
Risdiplam	Ikke klinisk aktuelt	Ved uacceptable bivirkninger Problemer med at følge hjemmebehandling Hvis patienten ikke kan anvende risdiplam som tablet og har problemer med at anvende eller opbevare oral opløsning korrekt (køleskab 2-8 grader C) Evt. planer om at få børn i nær fremtid	-	-



Kombinationsbehandling

Ved kombinationsbehandling forstås samtidig behandling med nusinersen og risdiplam eller opstart af nusinersen eller risdiplam efter éngangsbehandling med OA.

Der er ikke umiddelbart rationale for at kombinere lægemidlerne, da de har samme virkningsmekanisme. Der er heller ikke fundet nye studier, der dokumenterer en øget effekt af at kombinere lægemidlerne. Til gengæld kan patienten potentielt opleve flere bivirkninger, da lægemidlerne har forskellige bivirkningsprofiler.

Fagudvalget vurderer derfor, at der ikke er grundlag for at anvende kombinationsbehandling på nuværende tidspunkt.

Monitorering af effekt og bivirkninger

Tabel 8 viser, hvordan man i klinisk praksis bør monitorere effekt og bivirkninger af lægemidlerne.

Tabel 8. Monitorering af effekt og bivirkninger for patienter i sygdomsmodificerende behandling for spinal muskeltrofi (SMA)

Monitorering af effekt	Monitorering bivirkninger/opfølgning
Motorisk funktion Børn og unge: Test inden behandling og hver 6. mdr. herefter Voksne: Test inden behandling. Herefter en gang om året Testredskab er afhængigt af alder. Da fænotypen varierer, skal der foretages individuel vurdering af, hvilket måleredskab der passer bedst til patientens funktionsniveau <i>Præsymptomatiske børn:</i> Alder 0-6 år: PDMS Alder 6 år og op: BOT2 SMA type 1, 2 og 3: Alder 2 mdr.-2 år: CHOP INTEND og HINE Alder 2 år og op: HMFSE/RHS og RULM Der kan være patienter, hvor der er behov at inddrage andre relevante målemetoder til vurdering af funktion	Klinisk vurdering Kontrol med kontaktlæge hver 6. mdr. (voksne en gang om året) med angivelse af: <ul style="list-style-type: none">◦ almen status◦ respirationsstøtte◦ ernæringsstatus og evt. sonde◦ compliance til behandling ved nusinersen el. risdiplam◦ ved nusinersen hovedomfang hver 6. mdr., indtil barnet er 2 år◦ blodprøvekontrol (almene bp, lever/nyretal). Tilknytning ortopædkirurg Årlig kontrol Tilknytning øvrige specialer Efter behov kan tilknyttes lungespecialist, diætist, rykirurg, kardiolog, m.m. Respirationsstatus Tilknytning til respirationscenter, der vurderer behov for polysomnografi Effekt mål: Brug af NIV Konferering i netværk Kontaktlæge bør sikre, at patientens effekt og bivirkninger konfereres årligt i nationalt SMA-netværk



Seponering

Alvorlige bivirkninger eller væsentlige gener af behandlingen bør altid medføre overvejelser om, hvorvidt patienten kan skifte til anden behandling, eller behandlingen helt skal ophøre. Tabel 9 nedenfor viser fagudvalgets forslag til STOP-kriterier ved tegn på manglende effekt af behandlingen.

Tabel 9. STOP-kriterier ved tegn på manglede effekt af behandlingen

Population	STOP-kriterier
SMA type 1	Forværring af symptomer uden tegn på stabilisering vurderet efter 6 måneder og efterfølgende hver 6. måned, fx fald i CHOP-INTEND > 4 point
SMA type 2 og 3 2-5 år og 6-17 år (ved start af behandling)	Forværring af respirationsstatus eller grovmotorisk funktion vurderet efter 12 måneder og efterfølgende hver 6. måned, hvor forværringen ikke vurderes at være reversibel, som ved infektion eller efter skolioseoperation Forværring i respirationsstatus er baseret på tid med ventilator/døgn eller forværring i SaO ₂ målt uden ekstra tilførsel af ilt, vurderet over 3 uger. Forværring i grovmotorisk funktion er vurderet på videodokumenteret score på HFMSE (fald på 3 point eller mere) eller RULM-skalaen (fald på 2 point eller mere) i to på hinanden følgende målinger*, i forhold til da patienten påbegyndte behandlingen
Voksne (> 18 år ved start af behandling)	Forværring af respirationsstatus eller grovmotorisk funktion vurderet efter 12 måneder og efterfølgende hver 12. måned Forværring vurderes efter samme kriterier som for børn og unge

*Dette for at konfirmere, at der er tale om en reel forværring og ikke en enkelt 'dårlig' dag/måling.

Patienter over 6 år

Den mere langsomme sygdomsprogression i den ældre aldersgruppe gør det vanskeligt at basere STOP-kriterierne på skalaer som HFMSE, MFM-32 og RULM, hvor effekten i de relativt kortvarige randomiserede studier (12-15 måneder) ikke adskiller sig tydeligt fra placebo. I de ukontrollerede studier ses typisk en gennemsnitlig uændret score, og i nogle subgrupper få points forbedring ift. baseline. Der er dog meget stor individuel variation, også inden for de forskellige subgrupper. Dette er demonstreret i Tabel 9, der viser det ubehandlede forløb i forskellige alders- og funktionsgrupper. Endelig er der også patienter, der falder i HFMSE-score på trods af behandling.

Hos den enkelte patient kan det derfor være vanskeligt at afgøre, om et fald i funktionsniveau skyldes, at medicinen ikke længere virker, eller om funktionstabet ville have været endnu større uden behandling.

Som udgangspunkt foreslår fagudvalget at anvende de samme STOP-kriterier, som det engelske NICE har defineret. Fald på > 4 point på CHOP-INTEND eller 3 point på RHS (der for praktiske formål svarer til HFMSE). Hvis der er anvendt to eller flere skalaer, og patienten opretholder stabil effekt på den ene, men falder på den anden, skal fortsat behandling diskuteres i det kliniske ekspertpanel.



Tabel 10. Årlig ændring i HFMSE i forskellige aldersgrupper og SMA typer (ubehandlede)

	Non-ambulant (Coratti 2021)	Non-ambulant (siddet) (Coratti 2020)		Ambulant (går) (Coratti 2020)	
	2	3a	3b	3a	3b
< 5 år	0,40 (-0,20; 1,00)	-0,40 (-3,38; 2,58)	NA	1,86 (0,70; 3,02)*	NA
5-7 år	-1,39 (-1,71; -1,07)*	-1,67 (-7,44; 4,10)	NA	0,50 (-0,46; 1,46)	0,00 (NA)#
8-14 år (5-13 år)		-3,77 (-5,21; -2,33)*	NA	-2,58 (-3,60; -1,56)*	-0,40 (-1,31; 0,51)
15-19 år	-0,26 (-0,51; -0,01)*	-0,30 (-2,27; 1,67)	NA	-0,71 (-2,69; 1,27)	-2,50 (-4,43; -0,57)*
> 20 år	NA	-1,74 (-3,11; -0,37)	-1,67 (-4,02; 0,68)	-3,25 (-7,34; 0,84)	-0,20 (-2,01; 1,61)

NA. Ikke angivet, da der ingen patienter var i denne kategori. #Kun 1 patient i denne kategori. Fed*. Ændring er statistisk signifikant ift. baseline. 95 % er beregnet af Medicinrådets biostatistikere ud fra oplysningerne om patientantal og SD i artiklerne.

Dokumenter er udarbejdet i samarbejde med Medicinrådets fagudvalg vedr. neuromuskulære sygdomme. Fagudvalgets sammensætning kan ses på [hjemmesiden](#).

Medicinrådets kliniske sammenligningsgrundlag og omkostningsanalyse

Medicinrådet opdaterer ikke det kliniske sammenligningsgrundlag og omkostningsanalysen med risdiplam i tabletform. Det skyldes, at risdiplam fortsat er billigere end nusinersen, og derfor vil en opdateret omkostningsanalyse ikke ændre rækkefølgen af lægemidlerne.

Prisen på risdiplam som tabletter er den samme som den orale opløsning. Omkostningerne ved tabletbehandlingen er lidt lavere, da tabletterne til forskel fra den orale opløsning ikke skal opblandes af sundhedspersonale og opbevares på køl inden den afhentes eller sendes ud til patienten.



Versionslog

Versionslog		
Version	Dato	Ændring
1.4	29. april 2026	Nusinersen højdosisregime (50/28 mg) indplaceret.
1.3	16. juni 2025	Opdateret pga. af ny aftaleperiode Risdiplam i tabletform er godkendt til børn over 2 år der vejer mere end 20 kg. Tabletterne er derfor tilføjet i alle relevante tabeller. Prisen er den samme som den orale opløsning, derfor anbefaler Medicinrådet tabletterne på lige fod med den orale opløsning
1.2	28. august 2024	Målgruppen er udvidet til også at omfatte voksne patienter over 25 år, der opfylder opstartskriterierne
1.1	31. august 2023	Risdiplam anbefales nu også til børn under 2 måneder, da EMA den 20. juli 2023 besluttede at udvide indikationen til denne aldersgruppe. EU-kommissionen har godkendt den 16. august 2023
1.0	21. juni 2023	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