

Tillæg til Medicinrådets evidensgennemgang vedrørende lægemidler til spinal muskelatrofi

*Direkte indplacering af nusinersen
højdosisregime (50/28 mg)*

Tillæg



Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner. Når behandlingsvejledningerne bliver udarbejdet, er rollefordelingen mellem de tre enheder følgende:

- *Rådet* beslutter, hvilke behandlingsvejledninger der skal udarbejdes eller opdateres, og godkender de endelige dokumenter.
- *Sekretariatet* er overordnet projekt- og metodeansvarlige, faciliterer fagudvalgets arbejde og udarbejder udkast til dokumenterne.
- *Fagudvalgene* bidrager med specifik viden om sygdom og behandling inden for deres fagområde og samarbejder med sekretariatet om udkast til behandlingsvejledninger inden for et sygdomsområde.

Om Medicinrådets behandlingsvejledninger og tillæg

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.

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

Dette dokument er et *tillæg til evidensgennemgangen* i form af en direkte indplacering af et nyt lægemiddel i behandlingsvejledningen.

For yderligere information se *Metodevejledning for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme sygdomsområde*. Du finder denne på Medicinrådets hjemmeside.

Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato	29. april 2026
------------------	----------------

Ikrafttrædelsesdato	29. april 2026
---------------------	----------------

Dokumentnummer	239900
----------------	--------

Versionsnummer	1.0
----------------	-----



Sagsoplysninger

Lægemiddel	Nusinersen (Spinraza) 50 og 28 mg
Indikation	Behandling af 5q spinal muskelatrofi (SMA)
Lægemiddelfirma	Biogen
ATC-kode	M09AX07

Sagsbehandling

Anmodning modtaget fra ansøger	17. september 2025
Fyldestgørende ansøgning modtaget (dag 0)	2. januar 2026
Udkast til tillægget sendt til Amgros og virksomheden	17. marts 2026
Rådets godkendelse af tillæg	29. april 2026
Sagsbehandlingstid (opgjort i arbejdsdage)	16 uger (80 arbejdsdage)
Fagudvalg	Fagudvalget vedrørende neuromuskulære sygdomme



Indholdsfortegnelse

1.	Begreber og forkortelser.....	4
2.	Baggrund	5
2.1	Nusinersen højdosisregime (50/28 mg).....	5
3.	Metode.....	6
4.	Resultater	6
4.1	Studie og populationskarakteristika	6
4.1.1	Børn med infantil-onset SMA (SMA type 1).....	6
4.1.2	Børn med med late-onset SMA (type 2 og 3)	7
4.2	Resultater.....	9
4.2.1	Børn med infantil onset SMA (type 1)	9
4.2.2	Børn med later onset SMA (type 2 og 3).....	9
4.2.3	Unge og voksne med SMA type 2 og 3, der skifter fra standard- til højdosis	10
4.2.4	Sikkerhed	10
4.3	Andre overvejelser	11
4.4	Øvrige forhold	11
4.4.1	Graviditet	11
4.4.2	Amning	11
5.	Medicinrådets kliniske vurdering af lægemidler	12
6.	Referencer	13
7.	Sammensætning af fagudvalg	14
8.	Versionslog	15

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

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 30. april 2026



1. Begreber og forkortelser

ATC	Anatomisk-terapeutisk-kemisk klassifikationssystem for lægemidler
CHOP INTEND	The Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders
EMA:	Det Europæiske Lægemiddelagentur (<i>European Medicines Agency</i>)
EPAR:	<i>European Public Assessment Report</i>
HF MSE	Udvidet Hammersmith-skala for motorisk funktion (<i>Hammersmith Functional Motor Scale Expanded</i>)
HR:	<i>Hazard ratio</i>
PICO:	Population, intervention, komparator og effektmål (<i>Population, Intervention, Comparator and Outcome</i>)
HF MSE	Hammersmith Functional Motor Scale Expanded
RULM	Revised Upper Limb Module
SAE	Serious Adverse Event (alvorlig bivirkning)
SMA	Spinal muskelatrofi



2. Baggrund

Dette tillæg er udarbejdet på baggrund af ansøgning fra Biogen om vurdering af nusinersen (Spinraza) givet i et højdosisregime (opstart med to doser á 50 mg, 28 mg hver 4. måned som vedligeholdelsesdosis) til behandling af 5q spinal muskelatrofi (SMA). Medicinrådet har vurderet, om det nye højdosisregime skal anbefales på lige fod med det nuværende standarddosisregime (12 mg) i behandlingsvejledningen.

Rationalet for det nye højdosisregime er en hypotetisk antagelse om hurtigere og/eller større effekt. Det skal i givet fald afvejes overfor en potentielt større risiko for bivirkninger og mindre solidt datagrundlag for sikkerhed sammenlignet med standarddosisregimet.

Tabel 1-1. PICO

Population	Intervention	Komparator	Effekt mål
Patienter med 5q spinal muskelatrofi (SMA)	Spinraza 50/28 mg (højdosisregime)	Spinraza 12 mg (standarddosisregime)	<u>Infantil onsets:</u> CHOP-INTEND Eventfree survival (død eller permanent ventilation) overlevelse
			<u>Later-onsets:</u> HF MSE, RULM
			<u>Alle:</u> Sikkerhed

Forkortelser: CHOP-INTEND: Children's Hospital of Philadelphia Infant Test for Neuromuscular Disease. HF MSE: Hammersmith Functional Motor Scale Expanded RULM: Revised Upper Limb Module

For yderligere beskrivelse af PICO se protokol for behandlingsvejledningen [Spinal muskelatrofi](#).

2.1 Nusinersen højdosisregime (50/28 mg)

Nusinersen (50/28 mg) er en ny højere styrke til intratekal behandling af 5q spinal muskelatrofi (SMA). Den nye dosering består af to støddoser á 50 mg med 14 dages interval, efterfulgt af vedligeholdelsesdoser på 28 mg hver 4. måned [1]. Volumet der skal indsprøjtes (5 ml) er det samme som for standarddosisregimet

Standardbehandlingen med den nuværende nusinersen styrke (12 mg) omfatter fire støddoser á 12 mg (dag 0, 14, 28, 63) efterfulgt af vedligeholdelsesdoser på 12 mg hver 4. måned.

Ved skift fra standard til højdosisregime erstattes næstkommende vedligeholdelsesdosis (12 mg) af en 50 mg støddosis og herefter 28 mg som vedligeholdelsesdosis hver 4. måned [1].



3. Metode

Ansøger har indsendt dokumentation fra DEVOTE-studiet (SM203), som inkluderer en randomiseret, dobbeltblindet direkte sammenligning af 50/28 mg og 12 mg, samt en indirekte sammenligning med historiske kontrolgrupper (12 mg eller sham-kontrol) fra ENDEAR og CHERISH-studierne [2]. EMA/CHMP's vurdering [3] og ansøgers egne analyser indgår i grundlaget.

Medicinerådet vurderer, at dokumentationen er udarbejdet i overensstemmelse med gældende metoder.

4. Resultater

4.1 Studie og populationskarakteristika

DEVOTE-studiet (SM203) består af tre dele [2]:

- A: Sikkerhedsvurdering af 28 mg hos 6 sen-debuterende patienter (omtales ikke yderligere her)
- B: Randomiseret, dobbeltblindet studie med 99 børn med infantil- (SMA type 1) eller late-onset SMA (type 2 eller 3) randomiseret til nusinersen 50/28 mg vs. 12 mg.
- Part C: Skift til 50/28 mg hos 40 patienter (alder 4-65 år), der tidligere har fået standarddosis (12 mg). Herunder voksne (indgår i sikkerhedspopulationen).

I det følgende beskrives del B.

Det randomiserede dobbeltblindet studie (del B) inkluderede i alt 99 behandlingsnaive børn. Heraf 75 med *infantile-onset* SMA (SMA type 1, debut før 6 månedersalderen) og 24 med *later-onset* SMA (SMA type 2 og 3) randomiseret 2:1 til behandling med højdosisregime (50/28 mg) eller standarddosisregime (12 mg). Studiet havde ikke tilstrækkelig styrke til at påvise statistisk signifikante behandlingsforskelle mellem de to aktive behandlingsarme. Opfølgingsperioden var op til 302 dage (ca. 10 måneder).

4.1.1 Børn med infantil-onset SMA (SMA type 1)

Børnene (n=75) var i gennemsnit 18,4 (2-33) uger gamle ved første dosis med en sygdomsvarighed på 9,6 uger. Præspecificerede analyser matchede patienterne med en historisk kontrolgruppe, der bestod af 20 af de i alt 37 børn fra den sham-kontrolarm, der i sin tid indgik i ENDEAR-studiet (matchet efter sygdomsvarighed og baselinescore for CHOP INTEND (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test for Neuromuscular Disease))

Det primære endepunkt var ændring i CHOP INTEND på dag 183 hos patienter med debut i spædbarnsalderen i 50/28 mg-gruppen sammenlignet med denne matchede sham-gruppe fra studie CS3B (justeret for død eller studieophør ved brug af JRT).



Sekundære endepunkter omfattede overlevelse, event-free survival (død eller permanent ventilationsbehandling) og bivirkninger.

Baselinekarakteristika for patienter med infantil-onset SMA DEVOTE del B og den historiske sham-kontrolgruppe fra ENDEAR fremgår af tabel 1.

Tabel 1. Baselinekarakteristika infantil-onset DEVOTE del B og historisk sham-kontrolgruppe [2]

Infantil onset	50/28 mg (n = 50)	12 mg (n = 25)	Matchet sham fra ENDEAR (n = 20)
Alder ved første dosis gennemsnit (interval), uger	18,4 (2 til 33)	16,5 (3 til 31)	22,0 (4 til 34)
Alder ved symptomdebut gennemsnit (interval), uger	7,5 (1-21)	5,8 (2-20)	8,8 (1-19)
Sygdomsvarighed (tid fra symptomdebut til screening) gennemsnit (interval), uger	9,6 (0-20)	9,2 (0-25)	11,1 (0-21)
CHOP INTEND gennemsnit (interval), point	20,9 (5-56)	19,9 (0-39)	23,6 (11-33)

Forkortelser: CHOP-INTEND: Children's Hospital of Philadelphia Infant Test for Neuromuscular Disease.

Patienterne i de to randomiserede arme i DEVOTE del B (50/28, 12 mg) var sammenlignelige. På trods af matchingen, hvor populationen i ENDEAR sham-kontrolarmen blev reduceret fra 37 til 20, var studiepopulationen i DEVOTE del B fortsat yngre og med kortere sygdomsvarighed, hvilket medfører en risiko for at overestimere effekten ift. ENDEAR-studiet. Af denne årsag (major objection fra EMA) indgår der ikke en ekstern sammenligning med interventionsarmen fra ENDEAR-studiet [3].

4.1.2 Børn med med late-onset SMA (type 2 og 3)

Børnene med later-onset SMA (n=24) var i gennemsnit 6,1 år ved første dosis (2,1-9,8) og havde en gennemsnitlig estimeret sygdomsvarighed på ca. 5 år. Alder ved symptomdebut var 11,1 (6-22) måneder, de fleste med 3 SMN2-kopier og HFMSE-score på ca. 20 (10-42) point svarende til SMA type 2 og enkelte med SMA type 3.

Endepunkter var bl.a. ændringer i motorisk funktion (HFMSE, RULM) og helbredsrelateret livskvalitet (PedsQL). Data om helbredsrelateret livskvalitet er ikke indsendt af ansøger eller publiceret.



Baselinekarakteristika for patienter med later -onset SMA DEVOTE del B og de matchede historiske kontrolgrupper (12 mg og sham-kontrol) fra CHERISH fremgår af tabel 2.

Tabel 2. Baselinekarakteristika later-onset DEVOTE del B og historisk sham-kontrolgruppe [2]

Later-onset	50/28 mg (n = 16)	12 mg (n = 8)	Matchet sham fra CHERISH (n = 16)	Matchet 12 mg fra CHERISH (n = 32)
Alder ved første dosis gennemsnit (interval), år	6,1 (2,1-9,8)	5,7 (2,0-9,3)	5,1 (2,1-7,5)	5,5 (2,1-9,2)
Alder ved symptomdebut gennemsnit (interval), mdr.	11,1 (6,0-22,0)	9,9 (7,0-15,0)	11,9 (7,0-20,0)	10,7 (6,0-18,0)
Estimeret sygdomsvarighed (fra symptomdebut til 1.dosis), år	Ca. 5,2 år	Ca. 4,9 år	Ca. 4,1 år	Ca. 4,6 år
HFMSE-gennemsnit (interval), point	20,3 (10,0-42,0)	13,8 (10,0-22,0)	21,4 (13,0-34,0)	21,8 (10,0-43,0)
RULM-gennemsnit (interval), point	20,2 (12,0-30,0)	14,9 (4,0-25,0)	20,9 (12,0-28,0)	20,6 (11,0-33,0)

Forkortelser: HFMSE: Hammersmith Functional Motor Scale Expanded RULM: Revised Upper Limb Module

Patienterne med later-onset SMA I DEVOTE del B og den matchede population fra CHERISH var sammenlignelige med hensyn til alder og sygdomsvarighed.

Til gengæld var der forskel i funktionsniveau mellem de to dosisarme i DEVOTE-studiet. Patienterne der modtog 12 mg havde en gennemsnitlig lavere HFMSE og RULM-score end patienterne der modtog 50/28 mg, hvilket potentielt kan medføre en overestimering af effekten af den høje dosis.

DEVOTE del C

Omfattede 40 patienter, der skiftede fra standard til højdosisregimet. Heraf 2 børn med SMA type 1 og hhv. 14 børn og unge under 18 år og 24 voksne med SMA type 2 og 3. Gennemsnitsalder blandt de voksne var 32,5 år (19-65 år)



4.2 Resultater

4.2.1 Børn med infantil onsets SMA (type 1)

Nusinersen 50/28 mg. vs. shamkontrol

Ændring i det primære effektmål (CHOP INTEND-score dag 183) var statistisk signifikant og klinisk relevant for nusinersen 50/28 mg sammenlignet med den eksterne matchede sham-kontrolgruppe fra ENDEAR-studiet (11,9 vs. -11,1 point) forskel 26,2 point (20,7; 31,7). Der var også signifikant positiv effekt på overlevelse og *eventfree-survival* (død eller permanent ventilation) sammenlignet med sham-kontrol.

Nusinersen 50/28 mg vs. 12 mg

Sammenlignet med standarddosisregimet (12 mg) blev der ikke påvist statistisk signifikant bedre effekt på CHOP INTEND af højdosisregimet (50/28 mg). Studiet havde ikke statistisk styrke hertil. Ændringen fra baseline til dag 302 var numerisk højere (ca. 1 point) i 50/28-mg gruppen end i 12-mg gruppen baseret på forskellen i ranks, men ikke statistisk signifikant ifølge joint rank test. Omvendt var ændringen numerisk højere (ca. 1,9 point) i 12-mg gruppen end i 50/28-mg gruppen baseret på analysis of covariance (ANCOVA) med multiple imputation (MI) [3]. Der blev heller ikke påvist signifikant bedre effekt på *eventfree-survival* (død eller permanent ventilation) HR 0,70 (0,34–1,45), overlevelse HR 0,73 (0,26; 2,02) eller andre sekundære effektmål.

Medicinerådets vurdering

Der er ikke påvist bedre effekt af nusinersen højdosisregime sammenlignet med standarddosisregimet hos børn med SMA type 1. Datagrundlaget er meget usikkert pga. den indirekte sammenligning med et meget lille patientantal, hvilket også afspejles i de meget brede konfidensintervaller for overlevelse og det kombinerede effektmål af død eller permanent ventilationsbehandling.

4.2.2 Børn med later onsets SMA (type 2 og 3)

Nusinersen 50/28 mg vs. 12 mg

I DEVOTE-studiet del B blev der ikke påvist statistisk signifikant forskel i effekt på funktionsniveau mellem 50/28 mg sammenlignet med 12 mg. Studiet havde dog heller ikke statistisk styrke hertil. Den numeriske forskel i HFMSE og RULM ved dag 302 var begge 0,7 point.

I den indirekte sammenligning med en matchet-kontrolgruppe med 16 af de oprindeligt 84 patienter der blev behandlet med 12 mg i CHERISH-studiet var der en numerisk forskel i HFMSE på ca. 1,6 point og i RULM på ca. 0,5 point til fordel for 50/28 mg nusinersen. Hertil bemærkes, at vedligeholdelsesdosis i CHERISH-studiet blev givet som 12 mg hver 6. måned og ikke hver 4. måned som er praksis i dag jf. dosisbefaling i det godkendte produktresumé.



Medicinrådets vurdering

Der er ikke påvist bedre effekt af nusinersen højdosisregime sammenlignet med standarddosisregimet hos børn med SMA type 2 og 3. Internt i studiet er der en potentiel risiko for at overestimere effekten af højdosis pga. forskelle i funktionsniveau ved baseline. Ved sammenligning med ekstern kontrolgruppe er der risiko for at overestimere effekten af 50/28 mg pga. lavere doseringsfrekvens i CHERISH. Det bemærkes, at kontrolgruppen omfatter 20 % af den oprindelige patientpopulation fra CHERISH, som indgår i sammenligningen.

4.2.3 Unge og voksne med SMA type 2 og 3, der skifter fra standard- til højdosis

I den samlede gruppe (n=40) blev der observeret en forbedring 302 dage efter skift fra standard til højdosisregimet på HFMSE 1,8 point og RULM 1,2 point. For de 24 voksne var forbedringen på HFMSE 2,3 point og RULM 0,9 point.

Medicinrådets vurdering

Pga. den manglende kontrolgruppe er det usikkert, hvorvidt resultaterne er et udtryk for en reel mereeffekt af den højere dosis eller skyldes bias, herunder manglende blinding af assessor mv.

4.2.4 Sikkerhed

Sikkerhedsdata for højdosisregimet er baseret på i alt 128 patienter fra det samlede studieprogram.

Ifølge produktresumeeet er hyppigst rapporterede bivirkninger for brug af nusinersen bivirkninger relateret til den intratekale administration (lumbalpunktur), herunder hovedpine, rygsmerter (ikke muligt at vurdere for spædbørn) eller opkastning oftest rapporteret indenfor 72 timer efter proceduren[1].

For 12 mg angiver produktresumeeet, at erfaringen er baseret på studiedata for i alt 385 børn fra fase 2 og 3 studier op til 3.940 dage (> 10 år) (median 2.388 dage). Herunder præsymptomatiske spædbørn [1].

Hertil skal tillægges erfaring i form af *real-world-data* med behandling af mere en 15.000 patienter [3] [EPAR s. 109]. Efter markedsføringen har der været rapporter om meget sjældne bivirkninger, som kommunikerende hydrocephalus, der ikke var forbundet med meningitis eller blødning, samt arachnoiditis (kronisk betændelsestilstand i rygmargens hinder) [3].

For 50/28 mg er sikkerheden hos spædbørn, børn og voksne med SMA blev vurderet i studie SM203 og studie SM302 hos i alt 128 symptomatiske SMA-patienter, hvis alder lå i intervallet fra 14 dage til 65 år på tidspunktet for den første studiedosis. Behandlingstiden i studiet var fra 13 til 1.521 dage (> 4 år) (median 740,5 dage) [1].

Der er ikke data for studier med præsymptomatiske spædbørn. Sikkerhed af den høje dosis er kun begrænset undersøgt hos voksne over 18 år, (herunder SMA type 4) patienter med svær og progressiv skoliose. Der blev ikke identificeret nye sikkerhedssignaler i hverken hovedstudiet eller opfølgingsstudiet [3].



4.3 Andre overvejelser

Hos patienter, som skal opstarte behandling med nusinersen kan det være en praktisk fordel, at opstart med højdosisregimet kræver færre støddoser. Det første år administreres i alt fire doser (to støddoser og to vedligeholdelsesdoser), mens det nuværende dosisregime kræver i alt seks doser det første år (fire støddoser og to vedligeholdelsesdoser). Antallet af vedligeholdelsesdoser (tre per år) de efterfølgende år er ens. Ved skift til højdosisregimet hos patienter, der allerede er i behandling med nuværende dosisregime, bliver antallet af doser per år det samme, da sidste vedligeholdelsesdosis (12 mg) udskiftes med en enkelt støddosis (50 mg).

4.4 Øvrige forhold

De fleste SMA patienter i Danmark behandles i dag med risdiplam (1. valg), der indtages dagligt som tablet eller oral opløsning. Ifølge fagudvalget er der per marts 2026 [redacted], der er i behandling med nusinersen. De fleste er opstartet hermed før 2021, hvor risdiplam blev markedsført.

Produktresuméet angiver ingen dosisbefalinger for skift fra risdiplam til nusinersen, og der er fortsat ikke danske erfaringer hermed. Som udgangspunkt regner Medicinrådet med, at der gives fuld støddosis for begge dosisregimer af nusinersen.

Skift til nusinersen kan blive relevant, hvis:

- Patienten oplever betydelige bivirkninger af risdiplam
- Der er problemer med at følge hjemmebehandling

4.4.1 Graviditet

Ifølge produktresuméet bør nusinersen for en sikkerheds skyld undgås under graviditet pga. ingen eller utilstrækkelige data fra anvendelse af nusinersen til gravide kvinder. Dyreforsøg tyder ikke på teratogen effekt [1].

Risdiplam frarådes hos kvinder under graviditet og amning (dyreforsøg viser lavere fødselsvægt og forsinket udvikling) samt hos mænd 4 måneder før planlagt befrugtning (nedsætter sædcelleproduktionen i dyreforsøg).

Da nusinersen administreres lokalt i rygmarvskanalen er risikoen for systemisk påvirkning, og dermed påvirkning af fosteret, mindre end ved risdiplam.

Derfor anfører Medicinrådet i behandlingsvejledningen, at patienter, der planlægger at få børn, evt. kan skifte til nusinersen som alternativ til pausering af risdiplam. Ud fra et forsigtighedsprincip bør lavest mulige dosis af nusinersen anvendes, hvorfor det nuværende dosisregime bør foretrækkes i denne situation.

4.4.2 Amning

Ifølge produktresuméet, at det er ukendt, om nusinersen/metabolitter udskilles i human mælk. En risiko for nyfødte/spædbørn kan ikke udelukkes [1].



5. Medicinrådets kliniske vurdering af lægemidler

Medicinrådet 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 de ud fra et forsigtighedsprincip opstartes med den lave dosis.

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.

Implementering i behandlingsvejledningen

Nusinersen højdosisregime (50/28 mg) ligestilles med det nuværende nusinersen dosisregime (12 mg) og de øvrige lægemidler til alle aldersgrupper.

I praksis betyder en ligestilling, at det lægemiddel, der bliver 1. valg i lægemiddelrekommandationen skal anvendes som opstart hos mindst 70 % af de nyfødte børn (tabel 1 SMA type 1 og præsymptomatiske spædbørn) og til 80 % af børn, unge voksne med type 2 og 3 (tabel 2-5). Se: [Medicinrådets lægemiddelrekommandation og behandlingsvejledning vedr. lægemidler til spinal muskelatrofi-vers. 1.3](#)

Ud fra et forsigtighedsprincip vil fagudvalget som udgangspunkt opstarte nyfødte børn, og evt. småbørn op til 6 år med det nuværende dosisregime, hvor støddosis er lav. Hvis barnet tåler behandlingen, vil det eventuelt senere kunne skifte fra 12 mg til den højere vedligeholdelsesdosis på 28 mg.

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.



6. Referencer

1. spinraza-epar-product-information_da.
2. Finkel RS, Crawford TO, Mercuri E, Sumner CJ, Garcia Romero MDM, Day JW, et al. High-dose nusinersen for spinal muscular atrophy: a phase 3 randomized trial. *Nat Med* [internet]. 2026 [citeret 24. februar 2026]; Tilgængelig fra: <https://www.nature.com/articles/s41591-025-04193-6>
3. spinraza-h-c-004312-x-0038-epar-assessment-report_en.



7. Sammensætning af fagudvalg

Medicinrådets fagudvalg vedrørende neuromuskulære sygdomme

Forperson

Nanna Witting
Overlæge

Indstillet af

Lægevidenskabelige Selskaber og Dansk Neurologisk Selskab (repræsenterer også Region Hovedstaden)

Medlemmer

Har ikke specialet

Region Nordjylland

Marit Otto (næstforperson)
Overlæge

Region Midtjylland – neurologi

Karen Markussen Linnet
Overlæge

Region Midtjylland – neuropædiatri

Mimmi Gabriella Elisabeth Gillving
Afdelingslæge

Region Syddanmark – neurologi

Lone Laulund
Overlæge

Region Syddanmark – neuropædiatri

Har ikke specialet

Region Sjælland

Jeanette Tinggaard
Afdelingslæge

Region Hovedstaden – neuropædiatri

Jón Trærup Andersen
Professor, ledende overlæge

Dansk Selskab for Klinisk Farmakologi

Søren Bisgård Johansen
Farmaceut

Dansk Selskab for Sygehusapoteksledelse

Sanne Okkels Birk Lorenzen
Speciallæge

RehabiliteringsCenter for Muskelsvind

Helle Cecilie Viekilde Pfeiffer
Cheflæge

Dansk Pædiatrisk Selskab

Lisbeth Koed Doktor
Patient/patientrepræsentant

Danske Patienter

Lene Kjær Thomsen
Patient/patientrepræsentant

Danske Patienter

**Tidligere medlemmer,
som har bidraget til arbejdet**

Udpeget af



Medicinrådets fagudvalg vedrørende neuromuskulære sygdomme

Ulla Werlauff
Forskningsleder

RehabiliteringsCenter for Muskelsvind

8. Versionslog

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	29. april 2026	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