

Referat

Mødetitel	106. rådsmøde i Medicinrådet
Dato	18.06.2025
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 (ankom kl. 12.30)
- Anni Ravnsbæk Jensen
- Dorte Gyrd-Hansen
- Jan Sørensen
- Morten Freil
- Lisbeth Høeg-Jensen
- Maria Krüger

Observatører

- Ida Sofie Jensen
- Dorthe Bartels
- Hanne Lomholt Larsen

Afbud

- Jens Friis-Bak
- Kirstine Moll Harboe

Mødedeltagere fra sekretariatet

Søren Gaard, Laura Toftegaard Pedersen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jonas Stidsborg, Camilla Nybo Holmberg, Ehm Andersson Galijatovic (referent), Marie Louise Sjølie, Heidi Møller Johnsen, Karen Agerbæk Jørgensen og Rikke Serup.

Velkomst

Forperson Birgitte Klindt Poulsen bød velkommen til det 106. rådsmøde i Medicinrådet.

Forpersonen fremlagde et forslag om, at hovedfokus for det tematiske rådsmøde til efteråret vil blive Medicinrådets opgave om vejledning af almen praksis, og at mødet derudover kan indeholde en opfølgning på Rådets arbejde med alvorlighedsprincippet.

Rådet tilsluttede sig forslaget for efteråret tematiske rådsmøde.

Forpersonen og næstforpersonen orienterede om de debatter, de havde deltaget i på Folkemødet 2025.

Derudover orienterede forpersonen om, at der i den skriftlige godkendelse af opfølgning på anbefalingen vedrørende tucatinib til HER2-pos brystkræft har været spørgsmål til, hvilke patienter, der har fået behandlingen. Derfor vil godkendelsen blive rykket til det førstkommende rådsmøde.

Til slut orienterede forpersonen om det nye format for anbefalingstekster og præsentation for Rådet, som afprøves første gang i forbindelse med dette rådsmøde.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Drøftelse: Præsentation af analyse af Medicinrådets betalingsvillighed

Sekretariatet præsenterede et overblik over Medicinrådets beslutninger om lægemidler, hvor der har været beregnet en QALY-gevinst og ICER.

Rådet havde deres første indledende drøftelse af analysen. Rådet spurgte ind til, om det er muligt at se nærmere på udvikling henover tid, små vs. store patientpopulationer og forskellige grader af usikkerhed i datagrundlagene.

Rådet drøftede også, at det vil være værdifuldt at kunne holde resultatet op mod omkostningseffektiviteten for andre behandlinger i sundhedsvæsenet – ikke kun lægemidler.

Sekretariatet vil undersøge muligheden for at udbygge analysen ud fra det tilgængelige data.

Supplerende analyser vil blive fremlagt på et kommende rådsmøde.

Punkt 3

Anbefaling: Revurdering af lorlatinib (Lorviqua) - Anaplastisk lymfomkinase-positiv (ALK-positiv), fremskreden ikke-småcellet lungecancer (NSCLC)

Sekretariatet præsenterede revurderingen af lorlatinib til behandling af ALK-positiv, fremskreden ikke-småcellet lungecancer (NSCLC) i 1. linje. Revurderingen indeholdte ny kliniske data og lavere pris.

Fagudvalgsformand Lotte Holm Land beskrev, at fagudvalget anser det for en klinisk relevant forbedring for patienterne at behandle med lorlatinib i 1. linje fremfor 2. linje, fordi fagudvalget forventer, at den betydelige forbedring af PFS vil medføre en overlevelsesgevinst.

Rådet drøftede usikkerheden omkring effekten på overlevelse ved at flytte behandlingen fra 2. linje til 1. linje, og hvilken konsekvens det vil have for behandlingsalgoritmen. Rådet spurgte ind til efterfølgende behandlinger og pointerede, at sekventiel behandling med andre ALK hæmmere efter progression på lorlatinib ikke burde være standardbehandling, og at behandling i 2. linje efter lorlatinib dermed bør være kemoterapi.

Endelig drøftede Rådet patienternes performance status, og at studiet som undersøgte lorlatinib i 1. linje inkluderede patienter i god performance status.

I den samlede vurdering lagde Rådet vægt på, at lorlatinib i 1. linje giver en væsentlig forsinkelse af sygdomsforværring og begrænser spredning til hjernen. Det forventes på den baggrund, at lorlatinib kan forlænge patienternes liv, selvom det endnu ikke er dokumenteret, og der derfor er usikkerhed om, hvor meget patienternes liv forlænges. Samtidig vurderede Rådet, at de estimerede omkostninger per vundet QALY (ICER) var på et niveau, hvor omkostningerne står mål med den forventede sundhedsgevinst, også når de nævnte usikkerheder blev taget med i betragtning.

Rådet rettede opmærksomhed på, at den nye anbefaling bryder med den hidtidige ligestilling af lorlatinib med brigatinib og alectinib, og at anbefalingen forudsætter, at prisen på lorlatinib ikke stiger ved kommende udbud. Rådet vil derfor se på anbefalingen igen, såfremt virkningen hæver prisen.

Rådet anbefalede derfor lorlatinib som 1. linjebehandling til patienter med ALK-positiv uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft. Anbefalingen gælder for patienter i performance status 0-1.

Medicinerrådet vil opdatere behandlingsvejledningen vedr. førstelinjebehandling af uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft for patienter med ALK-translokation.

Punkt 4

Anbefaling: Revurdering af larotrectinib (Vitrakvi) - NTRK-fusion-positive solide tumorer

Sekretariatet præsenterede revurderingen af larotrectinib til børn og voksne med NTRK-fusion-positive solide tumorer, som ikke har andre tilfredsstillende behandlingsmuligheder. Revurderingen indeholdte nye kliniske data og lavere pris.

Fagudvalgsformand Lars Henrik Jensen beskrev, at fagudvalget anser det for en klinisk relevant forbedring for patienterne at behandle med larotrectinib, og vurderer lægemidlet som værende både effektivt og sikkert. Dog er der usikkerhed forbundet med at estimere én samlet værdi for effekten på tværs af alle de relevante kræftsygdomme.

Rådet spurgte ind til, hvordan det i klinisk praksis vurderes, om andre tilfredsstillende behandlingsmuligheder er udtømte, og om studiedata kan forventes at være overførbare til dansk klinisk praksis.

Rådet drøftede patientpopulationens begrænsede størrelse i studierne og usikkerheden om behandlingens effekt grundet populationens heterogenitet og de anvendte studier, som undersøger effekten uden en kontrolgruppe.

I den samlede vurdering lagde Rådet vægt på, at larotrectinib får kræftkuder til at skrumpe hos over halvdelen af patienterne og ser ud til at forlænge overlevelsen. Der er få bivirkninger og ingen negativ påvirkning af livskvalitet af behandlingen. Samtidig vurderede Rådet, at de estimerede omkostninger per vundet QALY (ICER) var på et niveau, hvor omkostningerne står mål med den forventede sundhedsgevinst, også når usikkerheden om effektens størrelsesorden blev taget med i betragtning, fordi der kan forventes en vis proportionalitet mellem effekt og omkostninger.

Rådet anbefalede derfor larotrectinib til børn og voksne med NTRK-fusion-positive solide tumorer, som ikke har andre tilfredsstillende behandlingsmuligheder.

Rådet ønsker, at der bliver indsamlet mere viden om lægemidlet og opfordrede derfor klinikere til at indsamle data om effekt og bivirkninger.

Punkt 5

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

Sekretariatet præsenterede vurderingen af fenfluramin til behandling af epileptiske anfald forbundet med Lennox-Gastaut syndrom.

Fagudvalgsformand Jakob Christensen beskrev, at den observerede reduktion i anfald udgør en klinisk forbedring for patienterne, som har meget alvorlig sygdom med mange alvorlige epileptiske anfald og bagvedliggende hjerneskade og en meget nedsat livskvalitet.

Rådet drøftede den store usikkerhed omkring livskvaliteten hos disse patienter, og i hvilket omfang behandlingen kan forbedre livskvaliteten, når forbedringen holdes op mod det relativt høje antal anfald. Rådet drøftede sygdommens alvorlighed. Rådet perspektiverede effekten af fenfluramin til behandling af Lennox-Gastaut til en anden epilepsiform, Dravet syndrom, hvor fenfluramin er anbefalet og spurgte ind til dødeligheden ved anfald for de to former. Rådet mente, at behandlingens pris var høj ift., at behandlingen kun reducerer anfald i en vis udstrækning, og at der er stor usikkerhed omkring effekten på livskvalitet i denne patientgruppe.

Rådet drøftede behovet for veldefinerede start- og stopkriterier for behandling med fenfluramin, og spurgte ind til hvor mange anfald patienterne skal have for at kvalificere sig til behandlingen, og hvor stor en reduktion i anfald der skal til for at fortsætte behandlingen.

Rådet besluttede at bede fagudvalget om at præcisere start- og stop-kriterier. Vurderingen sættes derfor i clock-stop for at få start og stop kriterierne lagt fast, så disse kan indgå i en beslutning om anbefaling. Rådet ønskede også en yderligere drøftelse af effekten af fenfluramin ved Lennox-Gastaut syndrom sammenlignet med effekten ved Dravets syndrom, patientgruppens størrelse og omkostningerne ved behandlingen.

Punkt 6

Opfølgning på anbefaling: Voretigene neparvovec (Luxturna) - Arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi

Fagudvalgsforperson Toke Bek præsenterede data fra dansk klinisk praksis vedrørende voretigene neparvovec til behandling af arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi.

Det er fagudvalgets vurdering, at de fleste patienter bevarer synet længere, end de ellers ville have gjort. De fleste patienter opfyldte de prædefinerede kriterier for tilfredsstillende effekt på en standardiseret fuldfeltslysfølsomhedstest (FST) på tidspunktet for dataopgørelsen. Fagudvalgsforpersonen beskrev også, at bivirkningsprofilen var som forventet.

Den nuværende effektbaserede aftale for voretigene neparvovec er udløbet, og sekretariatet præsenterede derfor den nye pris aftale, som er en almindelig rabataftale.

Rådet drøftede de fremlagte danske data og den nye pris. Rådet bemærkede, at effekten overordnet set kan forventes at være bedre for fremtidige patienter, da de kan behandles tidligere i deres sygdomsforløb, end de patienter der blev behandlet umiddelbart efter, at Luxturna blev anbefalet. Rådet vurderede, at de fremlagte data og den nye pris ikke gav anledning til ændringer i anbefalingen.

Den effektbaserede aftale gælder stadig for patienter, der allerede har fået behandlingen, men nye patienter vil fremover ikke skulle monitoreres iht. den effektbaserede aftale.

Punkt 7

Orientering: Præsentation af den norske prioriteringsmelding - Helse for alle - Rettferdig prioritering i vår felles helsetjeneste

Einar Andreassen, Områdedirektør, helseøkonomi og analyse, Direktoratet for Medicinske Produkter (DMP), Norge præsenterede den nye norske prioriteringsmelding (Meld. St. 21 (2024–2025, Helse for alle, Rettferdig prioritering i vår felles helsetjeneste).

Einar Andreassen beskrev DMPs arbejde med metodevurderinger af lægemidler, medicinsk udstyr og vacciner, og gennemgik historikken omkring prioriteringsmeldingerne og den lange tradition i Norge for prioritering i sundhedsvæsenet.

Herunder hvad der var uændret fra seneste melding og de nye tiltag, som var igangsat på baggrund af meldingen, herunder; hyppigere brug af alternative prisaftaler, ønske om at opgøre alternativomkostninger i det norske sundhedsvæsen for perspektivering til en mere eksplicit betalingsvillighed, hvordan usikkerhed skal påvirke betalingsvilligheden m.m.

Rådet havde enkelte opklarende spørgsmål og tog herefter oplægget ad notam.

Punkt 8

Anbefaling: Birkebarkekstrakt (Filsuvez) - Dystrofisk og junktional epidermolysis bullosa (EB)

Sekretariatet præsenterede vurderingen vedrørende birkebarkekstrakt til behandling af dystrofisk og junktional epidermolysis bullosa (EB).

Fagudvalgsforperson Ulrikke Lei beskrev, at der er et stort behov for lægemidler til denne patientgruppe, da der ikke findes gode behandlingsmuligheder for svært syge patienter med EB.

Rådet drøftede usikkerheden om, hvordan den observerede effekt på sårheling eventuelt vil påvirke livskvaliteten og i hvor høj grad den effekt, som er rapporteret i studiet, kan overføres til klinisk praksis. Herudover drøftede Rådet usikkerhed omkring, hvor mange tuber med gel som patienterne vil få brug for, da dette i høj grad påvirker den samlede pris.

I den samlede vurdering lagde Rådet lagde vægt på, at birkebarkekstrakt ser ud til at kunne give en lille fordel for nogle patienter i form af hurtigere opheling af deres sår. Rådet vurderede dog, at de estimerede omkostninger per vundet QALY (ICER) var på et niveau, hvor omkostningerne ikke står mål med den forventede sundhedsgevinst, også når usikkerheden om effektens størrelsesorden blev taget med i betragtning. Medicinrådet anbefalede derfor ikke birkebarkekstrakt som mulig standardbehandling til patientgruppen.

Punkt 9

Behandlingsvejledning: HER2-positiv brystkræft

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning for HER2-positiv brystkræft. Formålet med vejledningen var at give et samlet overblik over behandlinger som allerede er anbefalet af Medicinrådet og anvendes til sygdomsområdet. Behandlingsvejledningen medfører således ingen ændringer i nuværende praksis.

Fagudvalgsformand Hanne Meldgaard Nielsen havde ingen yderligere bemærkninger.

Rådet havde enkelte opklarende spørgsmål til litteraturgennemgangen og teksthæft spørgsmål til en tabel.

Rådet godkendte herefter behandlingsvejledningen.

Punkt 10

Direktørens meddelelser

Direktør Søren Gaard orienterede kort om at de næste to rådsmøder ligger i september, takkede for halvårets arbejde og ønskede god sommerferie.

Punkt 11

Skriftlig orientering

Intet til godkendelse.

Punkt 12

Eventuelt

Næste rådsmøde i Medicinrådet er den 3. september 2025