

Medicinrådets
lægemiddelrekommandation
vedr. lægemidler til sent
debuterende Pompes
sygdom

Rek



Om Medicinrådets behandlingsvejledninger

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. Relevante overvejelser er typisk:

- Hvilke lægemidler udgør den bedste behandling, og betragtes nogle af dem som ligeværdige alternativer til den relevante patientgruppe?
- Hvilke patienter kan behandles med lægemidlerne?

Desuden adresserer behandlingsvejledningen, hvilke kriterier der er for anvendelse af lægemidlerne:

- Kriterier for opstart af behandling.
- Kriterier for skift af behandling.
- Kriterier for stop eller dosisjustering af behandling.

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

Om Medicinrådets lægemiddelrekommandation

Medicinrådets lægemiddelrekommandationer er at betragte på linje med anbefalinger af nye lægemidler. Det vil sige, at et lægemiddel, som er inkluderet i behandlingsvejledningen, først er at betragte som anbefalet af Medicinrådet, når det fremgår af en lægemiddelrekommandation.

Rekommandationerne er udarbejdet på baggrund af det kliniske sammeligningsgrundlag for de lægemidler, som Medicinrådet har vurderet er ligestillede for det givne sygdomsområde og en evt. omkostningsanalyse. I rekommandationen er de klinisk ligestillede lægemidler rangeret baseret på de samlede omkostninger til lægemidlerne.

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



Dokumentoplysninger

Godkendelsesdato 20. oktober 2025

Ikrafttrædelsesdato 1. marts 2026

Dokumentnummer 231136

Versionsnummer 1.0

© Medicinrådet, 2025
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 21. oktober 2025



Medicinrådets lægemiddelrekommandation

Medicinrådets lægemiddelrekommandation angiver for sent debuterende Pompes sygdom, hvilke specifikke lægemidler der med baggrund i pris og effekt er mest hensigtsmæssige at anvende. I lægemiddelrekommandationen er de klinisk ligestillede lægemidler prioriteret ud fra deres totalomkostninger ved behandling i 24 måneder.

Som anført i [Opsummeringen](#) vedr. lægemidler til sent debuterende Pompes sygdom anbefaler Medicinrådet at skifte så mange patienter som muligt til det billigste blandt de ligestillede lægemidler. Skift som følge af ændret førstevalg bør som udgangspunkt kun ske højst hvert 2. år pga. det ekstra besvær det vil medføre for patienten og klinikken (længere infusionstid ved opstart af behandling og ekstra kontrolbesøg).

Patienter med sent debuterende Pompes sygdom

Tabel 1 viser rangeringen af de klinisk ligestillede lægemidler i kategorien "anvend". Pombiliti (cipaglucoxidase alfa) i kombination med Opfolda (miglustat) er 1. valg til mindst 90% af patienterne, som opstarter behandling for sent debuterende Pompes sygdom. Avalglucoxidase alfa og aglucoxidase alfa, som er ligestillet med ciplaglucoxidase alfa i kombination med miglustat er ikke anbefalet, da Medicinrådet vurderer, at der ikke er et rimeligt forhold mellem lægemidternes effekt og omkostninger.

Efterlevelseshøjden er sat til 90 %, da fagudvalgets kliniske eksperter vurderer, at der er marginal forskel på virkningsprofil og administrationsveje for de tre lægemidler. Det er kun avalglucoxidase alfa og aglucoxidase alfa, der er godkendt til behandling af børn. Hvis en ny patient er et barn anbefales at anvende det billigste af disse to lægemidler.

Tabel 1. Medicinrådets lægemiddelrekommandation for ERT-naive og -erfarne patienter med sent debuterende Pompes sygdom

Prioriteret rækkefølge af lægemidlerne	Handelsnavn (lægemiddel)	Dosering** og dispenseringsform	Bemærkninger
Anvend som 1. valg til mindst 90 % af patienterne*	Pombiliti + Opfolda (cipaglucoxidase alfa i kombination med miglustat)	Cipaglucoxidase alfa: I.v. 20 mg/kg hver 2. uge Miglustat: p.o. 260 mg (4 kapsler) til patienter med vægt ≥ 50 kg tages én time før infusion***	Kun godkendt til behandling af voksne og kan derfor ikke anvendes til børn

*Procentsatsen beskriver den andel af populationen, der som minimum bør begynde behandling med 1. valget eller skifte behandling til 1. valget. ERT: Enzymerstatningsterapi

** Gennemsnitlig vægt for en patient er 70 kg. *** P.o. 195 mg til patienter med vægt ≥ 40 < 50 kg



Baggrund

Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedrørende sent debuterende Pompes sygdom er baseret på følgende dokumenter, som er tilgængelige på Medicinrådets hjemmeside: [Pompes sygdom](#).

- Opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang vedrørende lægemidler til Pompes sygdom, version 1.1
- Medicinrådets evidensgennemgang vedrørende lægemidler til Pompes sygdom, version 1.0
- Omkostningsanalyse vedrørende lægemidler til Pompes sygdom - version 1.0

I omkostningsanalysen er de behandlingsrelaterede omkostninger opgjort for både de anbefalede og ikke-anbefalede lægemidler til behandling af Pompes sygdom opgjort. Herudover er omkostninger forbundet med skift af patienter til et billigere lægemiddel opgjort.

I opsummeringen i afsnittet om ” Kriterier for anvendelse og øvrige forhold findes en detaljeret beskrivelse af:

- Kriterier for opstart af behandling
- Skift mellem præparater
- Kriterier for seponering
- Kriterier for dosisjustering
- Monitorering af behandling.

Baggrundsdokumenter er udarbejdet i samarbejde med Medicinrådets fagudvalg vedr. medfødte stofskiftesygdomme. Fagudvalgets sammensætning kan ses på Medicinrådets [hjemmeside](#).



Versionslog

Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	20. oktober 2025	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