

Referat

Mødetitel 69. rådsmøde i Medicinrådet

Dato 15.06.2022 kl. 10.00-18.15

Sted Danske Regioner (fysisk fremmøde)

Deltagere

- Jørgen Schøler Kristensen (formand)
- Steen Werner Hansen (formand) (gik kl. 16.30)
- Peder Gunner Fabricius
- Kim Brixen
- Per Jørgensen (gik kl. 17.30)
- Jens Friis Bak (gik kl. 16.30)
- Dorte Lisbet Nielsen
- Hanne Rolighed Christensen
- Birgitte Klindt Poulsen
- Christine Dinsen-Andersen
- Niels Obel (kom kl. 10.30)
- Carl-Otto Gøtzsche (gik kl. 17.00)
- Anne Lene Riis
- Dorte Gyrd-Hansen
- Leif Vestergaard Pedersen

Observatører

- Ida Sofie Jensen (gik kl. 17.30)
- Dorthe Bartels
- Kristin Skougaard
- Simon Tarp (gik kl. 14.30)

Afbud fra Rådet

- Morten Freil

Fra sekretariatet

Torben Klein, Birgit Mørup (referent), Diana Milling Olsen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jane Skov, Katrine Valbjørn Lund, Sarah Storm Egeskov, Heidi Møller Johnsen, Ehm Andersson Galijatovic, Marie Louise Sjølie, Karen Agerbæk Jørgensen, Alexandra Blok Filskov, Camilla Nybo Holmberg

Ekstern konsulent: Jens Ersbøll

Formand Jørgen Schøler Kristensen bød velkommen til det 69. rådsmøde i Medicinrådet.

Fælles information

Formanden bød særligt velkommen til Kristin Skougaard, ny observatør fra Lægemiddelstyrelsen.

Derefter takkede formanden Leif Vestergaard Pedersen og Carl-Otto Gøtzsche for deres arbejde i Medicinrådet. Begge havde sidste rådsmøde i dag.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Godkendelse af referat

Intet til godkendelse.

Et rådsmedlem (patientrepræsentant) påpegede, at han ikke syntes, at referatet fra sidste møde vedrørende punkt 9, Oplæg: Ændring af model for betingede anbefalinger, havde været fyldestgørende nok. Rådsmedlemmet ønskede, at sagen blev fremmet hurtigst muligt, da det var rådsmedlemmets holdning, at det er vigtigt at få gennemført ændringer i modellen.

Formanden besluttede, at rådsmedlemmerne kunne indsende skriftlige kommentarer til oplægget og modellen inden 1. juli 2022, hvorefter sekretariatet følger op.

Punkt 3

Anbefaling: Teduglutid (Revestive) – korttarmssyndrom

Rådet havde modtaget opdaterede sagsoverblik i sagen, da der kort inden rådsmødet var tilgået sekretariatet nye oplysninger fra virksomheden.

Fagudvalgsformand Jens Kjeldsen præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende teduglutid (Revestive) til korttarmssyndrom, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser.

Fagudvalgsmedlem Michael Staun deltog under behandlingen af dette punkt.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden. Rådet spurgte opklarende ind til patentudløb på lægemidlet og muligheden for at reducere omfanget af parenteral ernæring, når der behandles med teduglutid. Rådet drøftede herefter bivirkninger ved lægemidlet, samt hvilke patienter denne behandling ville være relevant for, hvorledes disse eventuelt kunne identificeres, hvordan behandlingen bør følges op og eventuelt seponeres. Rådet bemærkede endeligt, at der på trods af, at lægemidlet har været på markedet i flere år, ikke har været efterspørgsel på det.

Rådet drøftede også data om livskvalitet, og hvorledes livskvalitet var blevet målt i de tilgrundliggende studier. Rådet drøftede endelig datakvaliteten i de studier, der indgik i vurderingsrapporten.

Rådet fandt, at det ikke på det foreliggende grundlag kunne afslutte sagen, idet Rådet så et behov for at få beskrevet opstarts- og seponeringskriterier. Herudover ønskede Rådet også, at fagudvalget beskrev, hvorledes løbende monitorering af behandlingen kunne foretages.

Sagen sættes i udvidet clock-stop, indtil fagudvalget har haft mulighed for at se på ovenstående.

Punkt 4

Anbefaling: Nivolumab (Opdivo) – adjuverende behandling af øsofagus- og gastroesophageal junction cancer

Fagudvalgsmedlem Jon Kroll Bjerregaard præsenterede det kliniske data vedrørende nivolumab (Opdivo) som adjuverende behandling til patienter med kræft i spiserør eller mavemund, og sekretariatet præsenterede herefter udkast til anbefaling samt de sundhedsøkonomiske analyser.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsmedlemmet og havde kommentarer til prognosen ved tilfaldet, livskvalitet samt efterfølgende behandlingsmuligheder. Rådet ønskede det præciseret, at dosering er vægtbaseret, og at der skal være op til et års behandlingsvarighed.

Rådet besluttede følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler nivolumab som adjuverende behandling til patienter med kræft i spiserør eller mavemund. Anbefalingen gælder patienter, der har modtaget neoadjuvant kemoradioterapi efterfulgt af kirurgi uden at opnå komplet patologisk remission. Det vil sige, at der var patologiske fund i det bortopererede væv. Adjuverende behandling skal forebygge, at kræftsygdomme udvikler sig og vender tilbage.

Medicinrådet vurderer, at nivolumab som adjuverende behandling udskyder og formentligt mindsker risikoen for sygdomstilbagefald sammenlignet med nuværende praksis, som ikke indebærer en aktiv behandling (behandlingsfri observation). Derfor forventer Medicinrådet, at nivolumab forbedrer patienternes overlevelse, selvom det endnu ikke er underbygget af tilgængelige data.

Samlet set vurderer Medicinrådet, at omkostningerne til behandlingen er rimelige set i forhold til den forventede effekt.

Medicinrådet anbefaler, at nivolumab gives i vægtbaseret dosering i op til 12 måneder

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

Punkt 5

Anbefaling: Acalabrutinib (Calquence) – kronisk lymfatisk leukæmi (gl. metode)

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. acalabrutinib (Calquence) til kronisk lymfatisk leukæmi.

Rådet drøftede udkastet med sekretariatet, og Rådet var særligt interesseret i sammenhængen til anvendelsen af venetoclax i dansk praksis. Rådet drøftede også behandlingsvarigheden af behandlingen.

Patientrepræsentanten fandt det uforklaret, hvorfor en gruppe af patienter ikke kan få acalabrutinib i 1. linje, men skal vente til 2. linje.

Efter drøftelserne besluttede Rådet følgende fire anbefalinger:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler acalabrutinib monoterapi til patienter, som har gennemgået mindst ét tidligere behandlingsforløb for kronisk lymfatisk leukæmi.

Tiden, indtil patienterne oplever sygdomsforværring, er sammenlignelig for acalabrutinib monoterapi og den nuværende behandling med ibrutinib. Der er ikke dokumenteret forskel i overlevelse mellem acalabrutinib og ibrutinib. Sikkerheden ved lægemidlerne er samlet set sammenlignelig, selvom lægemidlerne kan medføre forskellige bivirkningstyper.

Medicinrådet vurderer samlet set, at de to behandlinger er ligeværdige, og at omkostningerne ved behandlingerne er sammenlignelige. På den baggrund vurderer Medicinrådet, at omkostningerne til acalabrutinib er rimelige.

Medicinrådet har også tidligere anbefalet venetoclax i kombination med rituximab. Medicinrådet anbefaler regionerne at benytte det lægemiddel, der er forbundet med de laveste omkostninger.

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler acalabrutinib monoterapi til patienter med tidligere ubehandlet kronisk lymfatisk leukæmi med deletion(17p)/p53-mutation.

Tiden, indtil patienterne oplever sygdomsforværring, er sammenlignelig for acalabrutinib monoterapi og den nuværende behandling med ibrutinib. Der er ikke dokumenteret forskel i overlevelse. Sikkerheden ved lægemidlerne er samlet set sammenlignelig, selvom lægemidlerne kan medføre forskellige bivirkningstyper.

Medicinrådet vurderer samlet set, at behandling med acalabrutinib monoterapi og ibrutinib er ligeværdige behandlinger, og at omkostningerne til behandlingerne er sammenlignelige. På den baggrund vurderer Medicinrådet, at omkostningerne til acalabrutinib monoterapi er rimelige.

Medicinrådet har også tidligere anbefalet venetoclax i kombination med obinutuzumab. Medicinrådet anbefaler regionerne at benytte det lægemiddel, der er forbundet med de laveste omkostninger.

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke acalabrutinib i kombination med obinutuzumab til patienter med tidligere ubehandlet kronisk lymfatisk leukæmi med deletion(17p)/p53-mutation.

Medicinrådet vurderer, at kombinationen med obinutuzumab øger antallet af bivirkninger uden en væsentlig bedre effekt. Acalabrutinib i kombination med obinutuzumab øger samtidig omkostningerne til behandlingen. Medicinrådet vurderer derfor, at omkostningerne er for høje i forhold til den forventede effekt.

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke acalabrutinib monoterapi og acalabrutinib i kombination med obinutuzumab til patienter med tidligere ubehandlet kronisk lymfatisk leukæmi uden deletion(17p)/p53-mutation.

Medicinrådet vurderer, at acalabrutinib monoterapi og acalabrutinib i kombination med obinutuzumab forlænger tiden, indtil patienterne oplever sygdomsforværring, sammenlignet med de nuværende behandlinger med chlorambucil i kombination med obinutuzumab og bendamustin i kombination med rituximab. Bivirkningsprofilerne er forskellige, og acalabrutinib er forbundet med færre hæmatologiske bivirkninger (særligt fald i antallet af nogle hvide blodlegemer og blodplader) end de nuværende behandlinger.

Acalabrutinib monoterapi og acalabrutinib i kombination med obinutuzumab er dog betydeligt dyrere end den nuværende standardbehandling. Medicinrådet vurderer derfor, at omkostningerne er for høje i forhold til den forventede effekt.

Patienter uden deletion(17p)/p53-mutation vil kunne tilbydes behandling med acalabrutinib monoterapi i 2. linje.

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

Punkt 6

Anbefaling (revurdering): Cabotegravir/rilpivirin – hiv-1-infektion (gl. metode)

Sekretariatet præsenterede udkast til revurdering af Medicinrådets anbefaling vedr. cabotegravir-rilpivirin (Vocabria-Edurant/Rekambys) til hiv-1-infektion.

Rådet drøftede udkastet med sekretariatet og drøftede særligt, om ønsket om at kunne skifte nogle patienter fra tablet- til injektionsbehandling var begrundet i dårlig compliance eller andre udfordringer ved tabletbehandlingen. Eftersom udgifterne ved dette lægemiddel ikke afveg væsentligt fra nuværende standardbehandlinger, fandt Rådet, at lægemidlet kunne anbefales.

Rådet besluttede derfor:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler cabotegravir/rilpivirin som injektionsbehandling hver anden måned til behandling af hiv-1-infektion. Anbefalingen gælder patienter, som er virologisk supprimerede på et stabilt antiretroviralt regime uden aktuel eller tidligere evidens for viral resistens over for, og intet tidligere virologisk svigt med, lægemidler af non-nukleosid-revers-transkriptasehæmmer (NNRTI'ere) - og integrasehæmmer-klassen.

Medicinrådet vurderer, at cabotegravir/rilpivirin virker lige så godt til at supprimere (hæmme) hiv-infektion, som den behandling, man bruger i dag (tabletbehandling).

Injektionsbehandlingen er forbundet med lidt flere bivirkninger, men kan være en fordel for patienter, som har udfordringer med den daglige tabletbehandling.

Medicinrådet vurderer, at omkostningerne til behandlingen er rimelige, når man sammenligner med andre lægemidler til patientgruppen

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

Punkt 7

Behandlingsvejledning: Behandling af venøs tromboembolisme hos kræftpatienter

Fagudvalgsformand Jesper Kjærgaard præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til behandling af venøs tromboembolisme hos patienter med kræft.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og fandt, at det var et stort og godt arbejde, som fagudvalget og sekretariatet præsenterede. Rådet spurgte kort ind til dosis og respons samt behov for antidoter og om primær profylaktisk antikoagulationsbehandling til kræftpatienter.

Rådet drøftede herefter det forhold, at LMH (lavmolekylær heparin) gives vederlagsfrit til kræftpatienter, mens det samme ikke er tilfældet for DOAK (direkte orale antikoagulantia). Rådet ønskede, at sekretariatet skulle gøre Danske Regioner opmærksom på dette forhold, da det er Danske Regioner, der varetager vedligeholdelsen af listen over vederlagsfri medicin.

Rådet godkendte herefter behandlingsvejledningen.

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

Punkt 8

Anbefaling: OTL-200 (Libmeldy) – metakromatisk leukodystrofi

Fagudvalgsformand Brian Nauheimer Andersen præsenterede udkast til Medicinrådets vurdering af lægemidlet atidarsagene autotemcel (Libmeldy) til behandling af metakromatisk leukodystrofi. Sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser.

Rådet drøftede indledningsvist hensigtsmæssigheden i, at Medicinrådet havde antaget ansøgningen vedrørende dette lægemiddel, idet behandlingen pt. foregår i udlandet. Det betyder, at en henvisende sygehusafdeling skal søge Sundhedsstyrelsen om at lade patienten behandle på et udenlandsk hospital, der er godkendt til at foretage denne behandling.

Rådet vurderer lægemidler, jf. Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler/indikationsudvidelser, som en virksomhed har bedt Medicinrådet om at behandle. Lægemidlet skal have markedsføringstilladelse i Danmark og indgå eller forventes at indgå i de udleveringsgrupper, der fremgår af procesvejledningen.

Samlet set fandt Rådet, at ansøgningen ikke falder inden for Rådets kompetenceområde, idet ingen patienter pt. vil blive behandlet på danske sygehuse, og konkrete ansøgninger om behandling i alle tilfælde ville skulle håndteres i Sundhedsstyrelsen, jf. bekendtgørelse om ret til sygehusbehandling m.v.

Rådet valgte på den baggrund ikke at behandle udkastet.

Punkt 9

Behandlingsvejledning: Multipel sklerose (MS)

Fagudvalgsformand Lars Kristian Storr præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende lægemidler til behandling af attackvis multipel sklerose.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og spurgte blandt andet til fagudvalgets overvejelser omkring skift af behandling på økonomisk indikation samt placeringen af fingolimod i den kliniske rækkefølge. Rådet og fagudvalgsformanden nåede til enighed. Hvis der sker markante prisændringer, er fagudvalget parat til at overveje yderligere skift på økonomisk indikation end dem, der er beskrevet i behandlingsvejledningen (mellem diroximel fumarate og dimethyl fumarate samt natalizumab subkutan og intravenøs formulering).

En observatør foreslog en ændring i forhold til udkastteksten vedrørende rituximab.

Med denne ændring godkendte Rådet behandlingsvejledningen.

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

Punkt 10

Anbefaling: Nivolumab (Opdivo) i kombination med ipilimumab + kemoterapi — ikke-småcellet lungekræft, 1. linje

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende nivolumab (Opdivo) i kombination med ipilimumab (Yervoy) og begrænset kemoterapi til førstelinjebehandling af uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft og præsenterede de sundhedsøkonomiske analyser. Det havde ikke været muligt for medlemmer af fagudvalget at være til stede.

Rådet drøftede udkastet med sekretariatet og drøftede indledningsvis prisen på lægemidlet, toksiciteten og usikkerheden i den sundhedsøkonomiske analyse. Herefter drøftede Rådet, hvilken performancestatus patienterne skal være i for at kunne tåle behandlingen. Det blev bekræftet af en repræsentant fra fagudvalget pr. telefon. Rådet drøftede endelig også, hvorvidt der kunne indsamles effektdata. Rådet ønskede på den baggrund enkelte ændringer og besluttede herefter:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler nivolumab i kombination med ipilimumab og begrænset kemoterapi som førstelinjebehandling af uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft til patienter med planocellulær lungekræft og PD-L1-ekspression < 1 %. Anbefalingen omfatter patienter, som er i god almen tilstand (performancestatus 0-1).

Medicinrådet vurderer, at behandlingen kan forlænge patienternes levetid sammenlignet med nuværende standardbehandling med platinbaseret kemoterapi. Behandlingen er dog også forbundet med en øget risiko for alvorlige immunrelaterede bivirkninger, fx betændelse i tyktarmen eller leveren. Nivolumab i kombination med ipilimumab og begrænset kemoterapi er betydeligt dyrere end platinbaseret kemoterapi. Medicinrådet vurderer dog samlet set, at omkostningerne er rimelige i forhold til den forventede effekt. Nivolumab bør doseres vægtafhængigt.

Medicinrådet opfordrer til, at der foretages systematisk indsamling af relevante effektdata for patienter med planocellulær ikke-småcellet lungekræft med PD-L1-ekspression < 1 %, der sættes i behandling med nivolumab i kombination med ipilimumab og begrænset kemoterapi.

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke nivolumab i kombination med ipilimumab og begrænset kemoterapi som førstelinjebehandling af uhelbredelig ikke-småcellet lungekræft til patienter med ikke-planocellulær lungekræft (uafhængigt af PD-L1-ekspression) og patienter med planocellulær lungekræft og PD-L1-ekspression \geq 1 %.

På det nuværende datagrundlag kan Medicinrådet ikke konkludere, om der er forskel i effekten af behandling med nivolumab i kombination med ipilimumab og begrænset kemoterapi i forhold til den nuværende standardbehandling. Samtidig er Medicinrådet bekymret for den øgede risiko for alvorlige immunrelaterede bivirkninger sammenlignet med de behandlinger, patienterne får i dag.

Medicinrådet vurderer derfor, at det ikke har været relevant at beregne omkostningerne ved at indføre kombinationsbehandlingen som mulig standardbehandling til disse patienter

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

Punkt 11

Lægemiddelrekommandation: Nyrekræft

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets lægemiddelrekommandation for nyrekræft.

Rådet drøftede udkastet med sekretariatet og godkendte udkastet.

Rådet besluttede også, at den foretagne afvejning mellem effekt og pris (for behandlinger, som ikke er anbefalet som standardbehandling) som udgangspunkt skal gælde ved fremtidige opdateringer. De behandlinger, der ikke er anbefalet som standardbehandling, vil som udgangspunkt ikke indgå i lægemiddelrekommandationen ved en opdatering. Sker der markante ændringer i pris, ser Rådet sagen igen.

Lægemiddelrekommandationen fremsendes til regionerne og offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside.

Punkt 12

Anbefaling (revurdering): Dupilumab (Dupixent) – kronisk rhinosinuitis med næsepolypper

Fagudvalgsformand Jens Christian von Buchwald præsenterede fagudvalgets udkast til kriterier for opstart, monitorering og seponering af behandling med dupilumab ved svær kronisk rhinosinuitis med næsepolypper (CRSwNP) og skitserede planen for indsamling af data om effekten af behandlingen i dansk klinisk praksis. Rådet havde på rådsmødet den 18. maj 2022 bedt fagudvalget om at beskrive dette. Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. dupilumab (Dupixent) på baggrund af det nye pristilbud fra ansøger.

Rådet drøftede sagen med fagudvalgsformanden og overvejede de opstillede kriterier, særligt kriteriet vedr. astma. Rådet understregede endvidere, at det er vigtigt, at der indsamles effektdata i alle regioner.

Med enkelte ændringer besluttede Rådet følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler dupilumab som tillægsbehandling til patienter med svær kronisk bihulebetændelse (rhinosinuitis) med næsepolypper, som ikke har opnået tilstrækkelig effekt af funktionel endoskopisk sinuskirurgi og/eller behandling med systemisk kortikosteroid. Operationen skal være foretaget indenfor de seneste 3 år.

Behandlingen reducerer sværhedsgraden af patienternes sygdom ved at mindske omfanget af patientens polypper og forbedrer patienternes livskvalitet uden at medføre væsentlige bivirkninger.

De samlede omkostninger for sundhedsvæsnet er usikre, fordi det er uvist, hvor lang tid patienterne skal behandles, og hvor mange der stopper behandlingen. Derfor opfordrer Medicinrådet de behandlende afdelinger til at opsamle data om brugen af dupilumab. Senest om to år vil Medicinrådet med udgangspunkt i det indsamlede data vurdere, om der er grundlag for at revurdere anbefalingen.

Medicinrådet har udarbejdet opstarts-, monitorerings- og seponeringskriterier, som kan læses på Medicinrådets hjemmeside.

Rådet godkendte også Medicinrådets opstarts-, monitorerings- og stopkriterier for dupilumab til svær CRSwNP.

Anbefalingen vedr. dupilumab gælder fra den 1. november 2022, da den lavere pris først træder i kraft der.

Medicinrådet offentliggør anbefalingen og kriterier på Medicinrådets hjemmeside. Begge dele sendes også til regionerne.

Punkt 13

Anbefaling: Azacitidin (Onureg) – akut myeloid leukæmi (AML)

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende azacitidin (Onureg) til akut myeloid leukæmi. Sagen var også på rådsmødet den 18. maj 2022, hvor den blev præsenteret af fagudvalgsformanden. Her blev det besluttet at indhente supplerende oplysninger fra virksomheden.

Rådet drøftede på ny udkastet med sekretariatet. Flertallet i Rådet mente fortsat, at prisen for lægemidlet var høj, og at lægemidlet på den baggrund ikke skulle anbefales som mulig standardbehandling.

Patientrepræsentanten i Rådet var fortsat bekymret, og han mente, at der var for stor skepsis omkring virksomhedens antagelser. Flertallet i Rådet bakkede op om sekretariatets og fagudvalgets antagelser i den sundhedsøkonomiske model og fandt, at disse var klinisk plausible. Patientrepræsentanten ønskede, at Rådet på et senere tidspunkt tog en generel drøftelse af anvendelsen af livskvalitetsdata - sammenhæng mellem sygdomsrelateret livskvalitet og helbredsrelateret livskvalitet - og på hvilket grundlag rådet fraviger undersøgelser af livskvaliteten.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke oral azacitidin til vedligeholdelsesbehandling hos voksne patienter med kræftsygdommen akut myeloid leukæmi, der har opnået komplet remission og ikke er kandidater til hæmatopoietisk stamcelletransplantation.

Medicinrådet vurderer, at vedligeholdelsesbehandling med oral azacitidin kan udskyde tiden til sygdomstilbagefald og forlænge livet for nogle patienter sammenlignet med nuværende praksis, som ikke indebærer en aktiv behandling (behandlingsfri

observation). Behandlingen giver dog bivirkninger, som typisk er gastrointestinale (kvalme, opkast og diarré) og hæmatologiske (neutropeni, trombocytopeni og anæmi).

Medicinrådet vurderer samlet set, at omkostningerne til vedligeholdelsesbehandling med oral azacitidin er for høje i forhold til den forventede effekt.

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

Punkt 14

Anbefaling (revurdering): Pegvaliase (Palynziq) – fenyktonuri (PKU)

Sekretariatet præsenterede udkast til revurdering af Medicinrådets anbefaling vedrørende pegvaliase til patienter fra 16 år med fenyktonuri (revurdering). Rådet havde senest behandlet sagen i november 2021, hvor Rådet havde bedt sekretariatet om at rette henvendelse til Center for PKU på Rigshospitalet og virksomheden om muligheden for at indsamle data på danske patienter med henblik på at afdække, om der er grundlag for en betinget anbefaling. Sekretariatet fremlagde det, der var fremkommet.

Rådet fandt ikke, at kriterierne for en betinget anbefaling var opfyldt. Rådet noterede sig, at virksomheden ikke var interesseret i at finansiere en indsamling af danske data eller tilbyde en yderligere prisreduktion. Det er ikke muligt at indsamle robuste data på danske patienter inden for en rimelig tidshorisont. Rådet noterede sig også, at der er igangværende real-world studier, hvorfra der forventes at være data om cirka et år. Derfor fastholdt Rådet den tidligere beslutning om ikke at anbefale dette lægemiddel.

Se den gældende anbefaling [her](#).

Punkt 15

Habilitet: Habilitetsvurdering af fagudvalgsformand

Sagen blev udskudt til skriftlig behandling.

Punkt 16

Formandskabets meddelelser

Formanden oplyste, at Danske Regioner havde påbegyndt arbejdet med at beskrive opgaven vedrørende den eksterne analyse (evaluering) af Medicinrådet. Danske Regioner har udarbejdet et kort notat, som beskriver arbejdet. Dette blev udleveret til rådsmedlemmerne på mødet.

Formanden orienterede herefter om, at Medicinrådet har fået etableret en whistleblowerordning, på tilsvarende vis som offentlige myndigheder skal pr. 1. januar 2022. Whistleblowerordningen er intern (dvs. for medarbejdere, fagudvalgs- og rådsmedlemmer mv.) og vil blive mulig at tilgå via hjemmesiden.

Punkt 17**Skriftlig orientering**

Intet til godkendelse.

Rådet havde modtaget følgende i skriftlig orientering:

- Faste oversigter
- Pressehenvendelser

Punkt 18**Eventuelt**

Næste rådsmøde i Medicinrådet er onsdag den 31. august 2022.