

AUH neuromuskulært team

Att. Charlotte Olesen

Svar på henvendelse til Medicinrådet fra den 15. juni 2021

02. juli 2021

Kære Charlotte Olesen

MedicinrådetDampfærgevej 27-29, 3. th.
2100 København Ø

Tak for jeres henvendelse vedr. Medicinrådets anbefaling for onasemnogene abeparovvec (Zolgensma) fra den 26. maj 2021, hvor I beder os specificere/afklare indikationsstillingen for behandling med onasemnogene abeparovvec.

+45 70 10 36 00

medicinraadet@medicinraadet.dk

Rådet mener generelt, at der altid skal være en god grund til at skifte patienter fra en igangværende behandling. Det gælder også for børn under 6 måneder, som har modtaget få opstartsdoser af nusinersen (Spinraza).

www.medicinraadet.dk

Rådet lægger vægt på, at onasemnogene abeparovvec og nusinersen er vurderet som ligeværdige behandlingsalternativer, og at der aktuelt ikke er data, som kan belyse, om patienterne opnår en bedre effekt, hvis de skifter behandling. Herudover er et hvert skift forbundet med en risiko for nye bivirkninger. Rådet mener derfor som udgangspunkt ikke, at der er grund til at skifte en igangsat og velfungerende behandling.

Hos børn under 6 måneder kan man – ligesom hos børn, som er ældre end 6 måneder – overveje skift i særlige tilfælde, f.eks. hvis barnet har bivirkninger eller komplikationer forbundet med administrationen af nusinersen, og forudsat at barnet vejer under 13,5 kg, ikke er udtalt muskelsvækket og kan trække vejret selv. Det er Rådets opfattelse, at bivirkningerne skal være aktuelle og betydelige, og udover det forventelige ubehag ved en intraspinal administration.

Rådet gør samtidig opmærksom på, at Medicinrådets anbefaling vedr. onasemnogene abeparovvec ikke betyder, at dette lægemiddel nødvendigvis skal være førstevalg til alle patienter. Når Rådet senere på året har vurderet det orale lægemiddel risdiplam, kan der potentielt være tre forskellige behandlingsmuligheder til rådighed. Det vil derfor være naturligt også at medtage risdiplam i de kliniske overvejelser af, hvad der vil være det bedste valg til patienterne.

Vi beklager, at anbefalingen har givet anledning til tvivl om, hvordan den skal forstås.

Med venlig hilsenJørgen Schøler Kristensen og Steen Werner Hansen
Formænd for Medicinrådet