

# Dagsorden

**Mødetitel** 101. rådsmøde i Medicinrådet

**Dato** 26. februar 2025

## Dagsorden

1. Godkendelse af dagsorden
2. Godkendelse af referat
3. Anbefaling: Zilucoplan (Zilbrysq) - Myastenia gravis
4. Behandlingsvejledning og omkostningsanalyse: Paroksyttisk natlig hæmoglobinuri (PNH)
5. Anbefaling: Exagamglogene autotemcel (Casgevy) - Beta-talassæmi
6. Anbefaling: Exagamglogene autotemcel (Casgevy) – Seglcellesygdom
7. Anbefaling (revurdering): Abemaciclib i kombination med endokrin behandling (Verzenio) - Højrisiko ER+/HER2-brystkræft
8. Anbefaling: Sotatercept (Winrevair) - Pulmonal hypertension
9. Anbefaling: Epcoritamab (Tepkinly) - 3. linjebehandling af diffust storcellet B-celle lymfom
10. Orientering: Almen praksis
11. Anbefaling: Vadadustat (Vafseo) - Kronisk nyresygdom
12. Direktørens meddelelser
13. Skriftlig orientering
14. Eventuelt

## Sager i skriftlig proces

1. Anbefaling: Pembrolizumab + kemoterapi (Keytruda) - Kræft i galdevejene
2. Behandlingsvejledning: Kronisk lymfatisk leukæmi (CLL)

## Bilagsoversigt

### Ad punkt 1: Godkendelse af dagsorden

- Dagsorden inkl. tidsplan – 101. rådsmøde i Medicinrådet  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*

### Ad punkt 2: Godkendelse af referat

- Referat – 100. rådsmøde i Medicinrådet  
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

### Ad punkt 3: Anbefaling: Zilucoplan (Zilbryso) - Myastenia gravis

- Sagsoverblik vedr. zilucoplan til behandling af generaliseret myastenia gravis  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

#### Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A - Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. zilucoplan til behandling af generaliseret myastenia gravis, version 1.0  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag B - Svarark ifm. rådsinddragelse vedr. zilucoplan  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*

#### Bilagspakke til anbefalingen:

- Bilag 1 - Ansøgers notat til Rådet vedr. zilucoplan  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 2 - Amgros' forhandlingsnotat vedr. zilucoplan  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 3 - Ansøgning vedr. zilucoplan  
*Sag i proces – offentliggøres ikke.*

#### Artikler:

- Artikel 1 – Safety and efficacy of zilucoplan in patients with generalised myasthenia gravis
- Artikel 2 – Long term safety and efficacy of zilucoplan in patients with generalized myasthenia gravis: interim analysis of the RAISE-XT open-label extension study  
*På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres*

### Ad punkt 4: Behandlingsvejledning og omkostningsanalyse: Paroksyttisk natlig hæmoglobinuri (PNH)

- Sagsoverblik vedr. Medicinrådets behandlingsvejledning vedr. kronisk lymfatisk leukæmi (CLL)  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

#### Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A - Udkast til Medicinrådets evidensgennemgang vedr. lægemidler til kronisk lymfatisk leukæmi, version 1.1  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*

- Bilag B - Udkast til opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang vedr. lægemidler til kronisk lymfatisk leukæmi, version 1.1  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag C - Udkast til Medicinrådets omkostningsanalyse vedr. lægemidler til kronisk lymfatisk leukæmi, version 1.3  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*

#### Ad punkt 5: Anbefaling: Exagamglogene autotemcel (Casgevy) - Beta-talassæmi

- Sagsoverblik vedr. exagamglogene autotemcel (exa-cel) til behandling af patienter over 12 år med transfusionsafhængig  $\beta$ -talassæmi (TDT)  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

#### Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A – Udkast2 til Medicinrådets anbefaling vedr. exagamglogene autotemcel (exa-cel) til behandling af patienter over 12 år med transfusionsafhængig  $\beta$ -talassæmi, version 1.0  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag B - Svarark ifm. rådsinddragelse vedr. exa-cel til TDT  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*

#### Bilagspakke til anbefalingen:

- Bilag 1 – Ansøgers notat til Rådet vedr. exa-cel til TDT  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 2 - Amgros' forhandlingsnotat vedr. exa-cel til TDT  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 3 - Ansøgning vedr. exa-cel til behandling af TDT  
*Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag 4 - Skriv vedr. langtidseffekt af fagudvalgets forperson, Jesper Stentoft  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*
- Bilag 5 - Medicinrådets anvendelse af alvorlighedsprincippet  
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

#### Artikler:

- Artikel 1 – Locatelli et al., 2024: Exagamglogene Autotemcel for Transfusion-Dependent  $\beta$ -Thalassemia
- Artikel 2 – Silfverberg et al., 2024: BEAM or cyclophosphamide in autologous haematopoietic stem cell transplantation for relapsing-remitting multiple sclerosis
- Artikel 3 – Pasvolsky et al., 2023: Outcomes of Young Adults (Aged  $\leq$  40 Years) with Newly Diagnosed Multiple Myeloma after Upfront Autologous Stem Cell Transplant
- Artikel 4 – Aydin et al., 2024: Haploidentical Allogeneic Stem Cell Transplantation in Sickle Cell Disease: A Systematic Review and Meta-Analysis
- Artikel 5 – Van Zant & Liang, 2012: Concise Review: Hematopoietic Stem Cell Aging, Life Span, and Transplantation  
*På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

#### Ad punkt 6: Anbefaling: Exagamglogene autotemcel (Casgevy) – Seglcellesygdom

- Sagsoverblik vedr. exagamglogene autotemcel (exa-cel) til behandling af patienter  $\geq 12$  år med svær seglcellesygdom (SCD)  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

#### Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A – Udkast2 til Medicinrådets anbefaling vedr. exagamglogene autotemcel (exa-cel) til behandling af patienter  $\geq 12$  år med svær seglcellesygdom, version 1.0  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag B - Svarark ifm. rådsinddragelse vedr. exa-cel til SCD  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*

#### Bilagspakke til anbefalingen:

- Bilag 1 – Ansøgers notat til Rådet vedr. exa-cel til SCD  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 2 - Amgros' forhandlingsnotat vedr. exa-cel til SCD  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 3 - Ansøgning vedr. exa-cel til SCD  
*Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag 4 - Skriv vedr. langtidseffekt af fagudvalgets forperson, Jesper Stentoft  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*
- Bilag 5 - Medicinrådets anvendelse af alvorlighedsprincippet  
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)

#### Artikler:

- Artikel 1 – Frangoul et al. 2024: Exagamglogene Autotemcel for Severe Sickle Cell Disease
- Artikel 2 – Silfverberg et al., 2024: BEAM or cyclophosphamide in autologous haematopoietic stem cell transplantation for relapsing-remitting multiple sclerosis
- Artikel 3 – Pasvolsky et al., 2023: Outcomes of Young Adults (Aged  $\leq 40$  Years) with Newly Diagnosed Multiple Myeloma after Upfront Autologous Stem Cell Transplant
- Artikel 4 – Aydin et al., 2024: Haploidentical Allogeneic Stem Cell Transplantation in Sickle Cell Disease: A Systematic Review and Meta-Analysis
- Artikel 5 – Van Zant & Liang, 2012: Concise Review: Hematopoietic Stem Cell Aging, Life Span, and Transplantation  
*På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

#### Ad punkt 7: Anbefaling (revurdering): Abemaciclib i kombination med endokrin behandling (Verzenio)

##### Højrisiko ER+/HER2- brystkræft

- Sagsoverblik vedr. adj. abemaciclib+ET til ER+ brystkræft  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A - Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. abemaciclib i kombination med endokrin behandling som adjuverende behandling til tidlig ER+/HER2- brystkræft, vers. 2.0  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag B - Svarark ifm. rådsinddragelse vedr. adjuverende abemaciclib til tidlig ER+/HER2- brystkræft  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*

Bilagspakke til anbefalingen:

- Bilag 1- Ansøgers notat til Rådet vedr. adjuverende abemaciclib til ER+/HER2- brystkræft  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 2 - Amgros' forhandlingsnotat vedr. adjuverende abemaciclib  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 3 - Ansøgning vedr. adjuverende abemaciclib  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

Artikler:

- Artikel 1 – MonarchE, Results from a preplanned monarchE Overall Survival Interim Analysis, Including 5-Year Efficacy Outcomes
- Artikel 2 – MonarchE, Results from a preplanned interim analysis of a randomised, open-label, phase 3 trial + supplement  
*På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

#### Ad punkt 8: Anbefaling: Sotatercept (Winrevair) - Pulmonal hypertension

- Sagsoverblik vedr. sotatercept  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A - Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. sotatercept vers. 1.0  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag B - Svarark ifm. rådsinddragelse vedr. sotatercept  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*
- Bilag C - Sammenligning af klinisk effekt hos 2 stofs patienter\_20.dec.2024  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

Bilagspakke til anbefalingen:

- Bilag 1 - Ansøgers notat til Rådet vedr. sotatercept  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 2 - Amgros' forhandlingsnotat vedr. sotatercept  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 3 - Ansøgning vedr. sotatercept  
*Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.*

Artikler:

- Artikel 1 - Phase 3 Trial of Sotatercept for Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension
- Artikel 2 - Selexipag for the Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension  
*På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

Ad punkt 9: Anbefaling: Epcoritamab (Tepkinly) - 3. linjebehandling af diffust storcellet B-celle lymfom

- Sagsoverblik vedr. epcoritamab til behandling af recidiveret eller refraktær diffust storcellet B-cellelymfom  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A - Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. epcoritamab til behandling af diffust storcellet B-cellelymfom - efter to eller flere linjer systemisk behandling, version 1.0  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag B - Svarark ifm. rådeinddragelse vedr. epcoritamab til DLBCL  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*
- Bilag C - Model for brug af betingede anbefalinger i Medicinrådet  
[Er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.](#)
- Bilag D - Info til Medicinrådet om datagrundlag for betinget anbefaling af Tepkinly  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

Bilagspakke til anbefalingen:

- Bilag 1 - Ansøgers notat til Rådet vedr. epcoritamab  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 2 - Amgros' forhandlingsnotat vedr. epcoritamab  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 3 - Ansøgning vedr. epcoritamab  
*Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.*

Artikler:

- Artikel 1 – EPCORE NHL-1
- Artikel 2 – SCHOLAR-1
- Artikel 3 – Al-Mashhadi et al. 2023  
*På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

Ad punkt 10: Orientering: Almen praksis

- Ingen bilag.

Ad punkt 11: Anbefaling: Vadadustat (Vafseo) - Kronisk nyresygdom

- Sagsoverblik vedr. vadadustat  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*

Bilag til sagsoverblik:

- Bilag A - Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. vadadustat  
*Sag i proces – endeligt dokument offentliggøres efter Rådets behandling.*
- Bilag B - Svarark ifm. rådsinddragelse vedr. vadadustat  
*Internt dokument – offentliggøres ikke.*

Bilagspakke til anbefalingen:

- Bilag 1 - Ansøgers notat til Rådet vedr. vadadustat  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 2 - Amgros' forhandlingsnotat vedr. vadadustat  
*Indeholder fortrolige oplysninger – offentliggøres ikke.*
- Bilag 3 - Ansøgning vedr. vadadustat  
*Sag i proces – offentliggøres efter Rådets behandling.*

Artikler:

- Artikel 1 – Erythropoietic effects of vadadustat in patients with anemia associated with chronic kidney disease
- Artikel 2 – Overall Adverse Event Profile of Vadadustat versus Darbepoetin Alfa for the Treatment of Anemia Associated with Chronic Kidney Disease in Phase 3 Trials
- Artikel 3 – Global Phase 3 programme of vadadustat for treatment of anaemia of chronic kidney disease rationale, study design and baseline characteristics of dialysis-dependent patients
- Artikel 4 – Vadadustat for treatment of anemia in patients with dialysis-dependent chronic kidney disease receiving peritoneal dialysis
- Artikel 5 – Safety and Efficacy of Vadadustat for Anemia in Patients Undergoing Dialysis  
*På grund af ophavsrettigheder kan artikler ikke offentliggøres.*

Ad punkt 12: Direktørens meddelelser

- Ingen bilag.

Ad punkt 13: Skriftlig orientering

- Diagram over sagsbehandlingstider - Sager på det 101. rådsmøde pr. februar 2025  
*Offentliggøres ikke.*

Ad punkt 14: Eventuelt

- Ingen bilag.