

Referat

Mødetitel	85. rådsmøde i Medicinrådet
Dato	22. november 2023
Sted	Danske Regioner (fysisk fremmøde)

Deltagere

- Jørgen Schøler Kristensen (formand)
- Steen Werner Hansen (formand)
- Kim Brixen
- Kirsten Wisborg
- Jens Friis-Bak
- Peder Gunner Fabricius
- Charlotte Rotbøl
- Hanne Rolighed Christensen
- Birgitte Klindt Poulsen
- Christine Dinsen-Andersen
- Niels Obel (gik kl. 13.20)
- Anne Lene Riis
- Dorte Lisbet Nielsen
- Dorte Gyrd-Hansen
- Rikke Søgaard
- Lisbeth Høeg-Jensen

Observatører

- Ida Sofie Jensen (kom kl. 10.50)
- Dorthe Bartels
- Kristin Skougaard

Afbud fra Rådet

- Morten Freil
- Simon Tarp

Fra sekretariatet

Søren Gaard, Birgit Mørup (referent), Diana Milling Olsen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jane Skov, Camilla Nybo Holmberg, Ehm Andersson Galijatovic, Marie Louise Sjølie, Karen Agerbæk Jørgensen.

Formand Jørgen Schøler Kristensen bød velkommen til det 85. rådsmøde i Medicinrådet.

Formanden bød særligt velkommen til Medicinrådets nye direktør, Søren Gaard, som havde første rådsmøde.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Godkendelse af referat

Intet til godkendelse.

Punkt 3

Anbefaling: Dupilumab (Dupixent) – Prurigo nodularis

Sekretariatet præsenterede habilitetserklæringen for et fagudvalgsmedlem, som er udpeget i medfør af forvaltningslovens § 4, stk. 2.

Fagudvalgsmedlem Christian Vestergaard fortalte Rådet om sygdommen prurigo nodularis, og fagudvalgsformand Lars Nielsen gennemgik de kliniske data vedrørende dupilumab til sygdommen. Sekretariatet fremlagde herefter den sundhedsøkonomiske analyse samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede, hvordan patienter med moderat til svær prurigo nodularis diagnosticeres og muligheden for indikationsskred. Pga. risiko for dette mente Rådet, at det var vigtigt med tydelige opstarts-, monitorerings- og seponeringskriterier. Disse blev drøftet med fagudvalgsformanden og -medlemmet og offentliggøres sammen med anbefalingen. Grundet de høje behandlingsomkostninger understregede Rådet endvidere, at behandling med dupilumab først kan opstartes, når patienterne har utilstrækkelig effekt af optimal lokalbehandling og mindst en systemisk behandling, som er afprøvet i mindst tre måneder. Herefter besluttede Rådet følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler dupilumab til voksne patienter med moderat til svær prurigo nodularis (PN), som er en sjælden, kronisk hudsygdom. Anbefalingen omfatter patienter med utilstrækkelig effekt af lokalbehandling og mindst en anden systemisk behandling afprøvet i mindst tre måneder. Anbefalingen omfatter ikke andre typer af prurigo (kløe).

Dupilumab i kombination med lokalbehandling er effektivt til at reducere kløe og sværhedsgrad af moderat til svær PN samt til at forbedre livskvaliteten sammenlignet med nuværende standardbehandling bestående af topikale glukokortikoider (lokalbehandling).

Medicinrådet har tidligere anbefalet dupilumab til atopisk eksem. Effekt, bivirkninger og omkostninger er på samme niveau ved brug af dupilumab til PN som til atopisk eksem.

Medicinrådet efterspørger, at brugen af dupilumab til PN registreres i en klinisk database.

Kriterier for opstart, monitorering og seponering kan læses på Medicinrådets hjemmeside sammen med anbefalingen.

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

Punkt 4

Anbefaling: Nivolumab (Opdivo) i komb. med kemo - Ikke-småcellet lungekræft, neoadjuverende behandling

Fagudvalgsformand Lotte Holm Land præsenterede det kliniske data vedrørende nivolumab i kombination med kemoterapi til neoadjuverende behandling af ikke-småcellet lungekræft, og sekretariatet præsenterede herefter udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og spurgte særligt til patientkarakteristika for de patienter, der behandles med neoadjuverende kemoterapi. Rådet drøftede de uoverensstemmelser mellem studiedesignet og nuværende dansk praksis, som gør det vanskeligt at overføre resultaterne til danske patienter.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler, at patienter med potentielt kurabel ikke-småcellet lungekræft fortsat behandles i henhold til gældende nationale kliniske retningslinjer.

Hos den lille gruppe af patienter, hvor der klinisk findes indikation for behandling med neoadjuverende kemoterapi, anbefaler Medicinrådet nivolumab i kombination med platinbaseret kemoterapi som neoadjuverende behandling af resektabel ikke-småcellet lungecancer med høj risiko for tilbagefald og PD-L1 $\geq 1\%$.

Medicinrådet vurderer, at nivolumab kombineret med kemoterapi som neoadjuverende behandling udskyder tiden til sygdomstilbagefald og øger patienternes overlevelse sammenlignet med neoadjuverende kemoterapi alene.

Behandling med nivolumab kan give alvorlige og langvarige bivirkninger, men data tyder på, at bivirkningsbyrden af den kortvarige behandling med nivolumab og kemoterapi (9 uger) er sammenlignelig med kemoterapi alene.

Samlet set vurderer Medicinrådet, at omkostningerne til behandlingen er rimelige i forhold til effekten.

Medicinrådet anbefaler, at nivolumab som neoadjuverende behandling gives i vægtbaseret dosering i maks. 9 uger (3 cyklusser). Patienter, som får neoadjuverende behandling, skal ikke tilbydes adjuverende behandling efter operation.

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

Punkt 5

Behandlingsvejledning (opdatering): Hiv-1-infektion

Fagudvalgsformand Ann-Brit Eg Hansen præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende Hiv-1-infektion.

Sekretariatet præsenterede de efterfølgende trin i processen og foreslog en strategi til forenkling af den kommende lægemiddelrekommandation. Fremover vil kun den billigste kombination af de ligestillede lægemidler + NRTI-backbone blive rangeret efter den samlede pris. Det gælder både lægemidler i kategorien "anvend" og "overvej".

Rådet drøftede kort udkastet med fagudvalgsformanden og havde enkelte spørgsmål til det store antal af tilgængelige lægemidler samt til forenkling af lægemiddelrekommandationen.

Rådet godkendte herefter udkast til behandlingsvejledningen.

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

Punkt 6

Anbefaling: Pembrolizumab (Keytruda) i komb. med paclitaxel, nab-paclitaxel eller gemcitabin + carboplatin - Lokalt fremskreden eller metastatisk triple-negativ brystkræft

Fagudvalgsformand Hanne Meldgaard Nielsen præsenterede det kliniske data vedrørende pembrolizumab i kombination med paclitaxel, nab-paclitaxel eller gemcitabin + carboplatin til lokalt fremskreden eller metastatisk triple-negativ brystkræft, og sekretariatet præsenterede herefter udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og spurgte særligt til forskellene mellem indikation og resultater for nuværende standardbehandling med atezolizumab og nab-paclitaxel og den nye behandling med pembrolizumab.

Rådet drøftede også problemstillinger vedr. genbehandling med immunterapi og var enig om, at der mangler en systematisk gennemgang af denne problemstilling på tværs af sygdomsområder for at se, hvilken evidens, der er for anbefalinger vedr. denne praksis. Det blev oplyst, at inden for andre sygdomsområder blev genbehandling med immunterapi praktiseret efter et vist tidsinterval. På denne baggrund besluttede Rådet herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler pembrolizumab i kombination med kemoterapi til patienter med inoperabel lokalt fremskreden eller metastatisk triple-negativ brystkræft (PD-L1 CPS \geq 10) uden forudgående systemisk behandling af metastatisk sygdom.

Medicinrådet vurderer, at behandling med pembrolizumab i kombination med kemoterapi er lige så effektiv til at udskyde tiden til sygdomsprogression og øge patienternes overlevelse som nuværende standardbehandling med atezolizumab i kombination med nab-paclitaxel (PD-L1 IC \geq 1). Dette gælder for patienter, hvor der enten er gået minimum 12 måneder siden endt (neo)adjuverende kemoterapi, eller som har nydiagnosticeret metastatisk sygdom. Datagrundlaget er dog usikkert på grund af væsentlige forskelle mellem de studier, som de to behandlinger er blevet undersøgt i. Ved begge behandlinger er der risiko for immunrelaterede bivirkninger, der kan være livstruende og langvarige.

Medicinrådets anbefaling vedrørende pembrolizumab i kombination med kemoterapi gælder også patienter med kort sygdomsfrit interval (6-12 måneder siden endt (neo)adjuverende kemoterapi).

Medicinrådet fremhæver, at der ikke bør genbehandles med immunterapi indenfor 24 måneder efter endt (neo)adjuverende behandling med pembrolizumab, og at der skal have været acceptabel toksicitet ved denne behandling.

Medicinrådet anbefaler, at pembrolizumab gives vægtbaseret i maks. to år.

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

Punkt 7

Anbefaling (revurdering): Pegcetacoplan (Aspaveli) - Paroksyttisk natlig hæmoglobinuri (PNH)

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende pegcetacoplan (Aspaveli) til behandling af paroksyttisk natlig hæmoglobinuri.

Rådet drøftede argumenter for og imod en anbefaling. Lægemidlet er stadig meget dyrt ift. andre lægemidler anbefalet af Medicinrådet, og komparator (C5-hæmmere) er ikke tidligere vurderet af Medicinrådet. Samtidig er pegcetacoplan både en bedre og billigere behandling end C5-hæmmerne.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler pegcetacoplan til voksne patienter med den sjældne blodsygdom paroksyttisk natlig hæmoglobinuri (PNH). Anbefalingen gælder patienter, som er anæmiske (lider af blodmangel) trods mindst 3 måneders behandling med en C5-hæmmer.

Sammenlignet med fortsat C5-hæmmerbehandling reducerer pegcetacoplan anæmi og behovet for blodtransfusioner, hvilket forbedrer patienternes livskvalitet. Pegcetacoplan er prissat på niveau med den billigste C5-hæmmerbehandling, og fordi patienterne kan behandles i eget hjem og skal have færre blodtransfusioner, er pegcetacoplan samlet set forbundet med lavere omkostninger end de nuværende C5-hæmmere.

Både pegcetacoplan og de to eksisterende behandlinger (C5-hæmmere) er dog ekstremt dyre. Anbefalingen er derfor ikke udtryk for, at Medicinrådet finder de samlede omkostninger til disse behandlinger rimelige.

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

Medicinrådet vil genoptage arbejdet med en behandlingsvejledning på området. Rådet har i december 2022 besluttet, at der skal udarbejdes en behandlingsvejledning. Den har været pauseret, mens den har afventet nye lægemidler.

Punkt 8

Behandlingsvejledning (opdatering): Hæmofili B

Rådsmedlem Niels Obel deltog ikke under dette punkt, da han er specifikt inhabil i sagen.

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets opsummering af evidensgennemgang vedr. lægemidler til hæmofili B.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og havde et enkelt spørgsmål til skift af behandling.

Rådet godkendte herefter udkast til opsummering af Medicinrådets evidensgennemgang.

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

Efter Amgros har afholdt udbud på området, vil lægemiddelrekommandationen blive opdateret.

Punkt 9

Anbefaling: Etranacogene dezaparvovec (Hemgenix) - Hæmofili B

Rådsmedlem Niels Obel deltog ikke under dette punkt, da han er specifikt inhabil i sagen.

Fagudvalgsformand Eva Funding præsenterede det kliniske data vedrørende etranacogene dezaparvovec til hæmofili B, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede de kliniske data og den sundhedsøkonomiske analyse. Rådet udtrykte bekymring vedrørende manglende data om langsigtede bivirkninger så som virusforårsaget leversvigt, som er set ved andre typer genterapier baseret på samme virusvektor. Rådet fandt, at to års opfølgning på patienterne gjorde det meget usikkert at vurdere varigheden af effekten på patienternes faktorniveau i blodet og deraf følgende behov for profylaksebehandling. Samtidig er genterapien meget dyr. Rådet ønskede en bredere drøftelse af muligheder og betingelser forbundet med implementering af ATMP i klinikken.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke Hemgenix (etranacogene dezaparvovec) til voksne patienter med blødersygdommen hæmofili B (medfødt faktor IX-mangel) i svær og moderat svær grad.

Hemgenix er en genterapi, der gives én gang i livet. Dermed undgår patienten forebyggende behandling med ugentlige infusioner med et faktor IX-præparat, som er nuværende standardbehandling. Begge behandlingstyper er effektive til at forebygge blødninger, men det er ikke alle patienter, der bliver fuldstændig fri for spontane ledblødninger, som på sigt kan medføre invaliditet og nedsat livskvalitet.

Det er uvist, hvor mange år behandlingen med Hemgenix vil virke (kun 2 års data), og dermed hvor mange patienter der må tilbage på forebyggende behandling med et faktor IX-præparat igen. Viden om sikkerhed er sparsom, herunder er der ingen viden om langtidsbivirkninger af Hemgenix, og prisen er meget høj.

Samlet set vurderer Medicinrådet, at omkostningerne ikke er rimelige, når usikkerheden om langtidseffekten tages i betragtning. Medicinrådet opfordrer derfor lægemiddelvirksomheden til at vende tilbage med en ny prisaftale.

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

Punkt 10

Formandskabets / direktørens meddelelser

Direktøren orienterede Rådet om status på arbejdet med HTA-forordningen.

Direktøren orienterede også om gårsdagens åbne samråd om Medicinrådet, hvor Folketingets Sundhedsudvalg havde kaldt indenrigs- og sundhedsminister Sophie Løhde (V) i samråd.

Direktøren orienterede endvidere Rådet om kommende møder, hvor formandskabet deltager.

Punkt 11**Skriftlig orientering**

Intet til godkendelse.

Rådet havde modtaget følgende i skriftlig orientering:

- Faste oversigter
- Pressehenvendelser

Punkt 12**Eventuelt**

Næste rådsmøde i Medicinrådet er onsdag den 13. december 2023.