

23. februar 2018

Medicinrådet  
Dampfærgevej 27-29, 3. sal  
2100 København Ø

+45 70 10 36 00  
[medicinraadet@medicinraadet.dk](mailto:medicinraadet@medicinraadet.dk)  
medicinraadet.dk

## **Anbefalinger for anvendelse af nusinersen (Spinraza) i Danmark, Sverige og Norge**

Hverken Danmark, Sverige eller Norge tilbyder nusinersen til alle patienter med spinal muskeltrofi (SMA).

Både Danmark, Sverige og Norge har opstillet kriterier, som afgrænser hvilke patienter med SMA, der tilbydes behandling. I Norge og Sverige skal hver enkelt patient vurderes af en national klinisk ekspertgruppe, som skal sikre, at patienten opfylder kriterierne for ibrugtagning af lægemidlet.

### **Nationale anbefalinger**

Alle tre lande anbefaler nusinersen til udvalgte patienter med SMA type I, og kriterierne, for hvem der kan tilbydes behandlingen, er stort set identiske.

Danmark anbefaler desuden specifikt nusinersen til præsymptomatiske børn, mens Sverige og Norge, til forskel fra Danmark, anbefaler nusinersen til patienter med SMA type II samt til visse patienter med SMA type III, som debuterer før treårsalderen. Sidstnævnte anbefaling afspejler, at det kan være klinisk vanskeligt at skelne en tidligt debuterende type III fra en sent debuterende type II.

I både Norge og Sverige er anbefalingerne begrænset til patienter, som er under 18 år, og det er et krav, at patienten ikke må være i permanent respirationsbehandling.

I Norge og Sverige er der strikse kriterier for, hvornår behandlingen skal ophøre; effekten hos den enkelte patient skal evalueres med fastlagte intervaller, og behandlingen ophører, hvis patientens funktionsniveau forværres.

I Danmark har klinikere i fagudvalget vedrørende spinal muskeltrofi udarbejdet en protokol med kriterier for monitorering af effekt og behandlingsophør.

### **Indsamling af data**

I Norge skal der etableres et medicinsk kvalitetsregister, hvorpå ordningen skal evalueres efter 6 måneder og danne baggrund for en ny prisforhandling.

I Sverige skal hver patient følges i et nationalt kvalitetsregister, men det er ikke specificeret, hvordan man vil anvende data.

I Danmark vil klinikerne registrere effekten af nusinersen i en national database.