

# Referat

<b>Mødetitel</b>	102. rådsmøde i Medicinrådet
<b>Dato</b>	26.03.2025
<b>Sted</b>	Danske Regioner

## Deltagere

- Birgitte Klindt Poulsen (forperson) (virtuelt)
- Jannick Brennum (næstforperson)
- Kirsten Wisborg
- Jens Friis-Bak
- Peder Gunner Fabricius
- Søren Pihlkjær Hjortshøj
- Peter Sørensen
- Tonny Studsgaard Petersen
- Zandra Nymand Ennis
- Christine Dinsen-Andersen
- Anne Lene Riis
- Ann-Britt Eg Hansen
- Anni Ravnsbæk Jensen
- Dorte Gyrd-Hansen
- Jan Sørensen
- Morten Freil
- Lisbeth Høeg-Jensen

## Observatører

- Ida Sofie Jensen
- Dorthe Bartels
- Hanne Lomholt Larsen
- Kirstine Moll Harboe

## Afbud fra Rådet

- Maria Krüger (deltog virtuelt under punkt 4)

**Mødedeltagere fra sekretariatet**

Søren Gaard, Laura Toftegaard Pedersen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jonas Stidsborg, Camilla Nybo Holmberg, Ehm Andersson Galijatovic (referent), Marie Louise Sjølie, Karen Agerbæk Jørgensen og Rikke Serup.

**Velkomst**

Næstforperson Jannick Brennum bød velkommen til det 102. rådsmøde i Medicinrådet.

Næstforpersonen bød velkommen til et nyt rådsmedlem. Peter Sørensen er lægelig direktør på Sygehus Sønderjylland og udpeget af Region Syddanmark.

Næstforpersonen bød også velkommen til observatør fra Sundhedsstyrelsen, Kirstine Moll Harboe, som deltog i sit første møde.

**Punkt 1****Godkendelse af dagsorden**

Rådet godkendte dagsordenen.

**Punkt 2****Godkendelse af referat**

Der var ingen bemærkninger til referatet.

## Punkt 3

### Lægemiddelrekommandation: Enzymerstatningsterapier til Fabrys sygdom

Sekretariatet præsenterede kort baggrunden for opstart af behandlingsvejledningen og resultatet efter Amgros udbud, hvor pegunigalsidase samlet set er forbundet med de laveste omkostninger. Herefter præsenterede sekretariatet forskellige forslag til, hvilke lægemidler som kunne indgå i Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedr. enzymerstatningsterapier til Fabrys sygdom.

Fagudvalgsformand Allan Bayat og fagudvalgsmedlem Caroline Michaela Kistorp deltog på punktet for at kunne svare på spørgsmål.

Rådet drøftede problemstillingen omkring de meget høje lægemiddelpriser indenfor området på lægemidler, som er taget i brug før Medicinrådets oprettelse. Rådet besluttede, at lægemiddelrekommandationen kun skulle indeholde pegunigalsidase alfa, som er det billigste lægemiddel. Det vil sige, at de øvrige lægemidler ikke kan betragtes som værende anbefalet af Medicinrådet, og at størstedelen af nydiagnosticerede patienter dermed ikke skal startes op på disse lægemidler. Rådet lagde vægt på, at pegunigalsidase alfa er forbundet med væsentligt lavere omkostninger end de øvrige lægemidler.

Rådet spurgte ind til mulighederne for skift af behandling og det kliniske undersøgelsesprogram ved skift. Rådet drøftede de fremadrettede konkurrencemuligheder, patientensyn og ressourceforbruget ved skift af behandling. Rådet lagde vægt på, at så mange patienter som muligt bør skifte til pegunigalsidase alfa, som er billigste alternativ. Dette er for at opnå de størst mulige umiddelbare besparelser og for at opretholde konkurrencen i fremadrettede udbud. Omkostninger til skift er estimeret til at være væsentligt lavere end de besparelser, som kan opnås ved et skift. Rådet anerkendte at skiftet til et andet lægemiddel kan være besværligt for patienterne, men på et område præget af usædvanligt høje lægemiddelpriser fandt de det mest rigtigt at anbefale et skift, fordi sundhedsvæsenet kan få frigivet mange ressourcer til gavn for andre patienter ved at skifte til den billigste behandling. Der blev også lagt vægt på at sikre, at patienterne får den nødvendige støtte under skiftet.

Rådet ønskede at have fokus på kommunikation omkring, at en lægemiddelrekommandation indeholdende pegunigalsidase alfa ikke skal anses som en blåstempling af prisniveauet. Rådet vurderede, at prisniveauet for alle lægemidlerne til behandling af Fabrys sygdom generelt er urimeligt højt. Ved næste udbud vil alle virksomheder, hvis lægemidler fremgår af behandlingsvejledningen, have mulighed for at byde ind med en ny pris.

Beslutningen betyder, at tidligere anbefalinger af lægemidler indenfor sygdomsområdet ikke længere vil være gældende, og der henvises til lægemiddelrekommandationen.

## Punkt 4

### Protokol: ADHD hos børn, unge og voksne

Fagudvalgsformand Pelle Lau Ishøj og fagudvalgsnæstformand Shelagh Powell præsenterede udkast til Medicinrådets protokol vedr. ADHD hos børn, unge og voksne.

Rådet drøftede samarbejdet med andre relevante aktører indenfor området, herunder Lægemiddelstyrelsen, Sundhedsstyrelsen og virksomheder, samt hvordan kriterier for opstart, pausering og seponering vil blive håndteret i behandlingsvejledningen. Rådet drøftede implementering af den fremtidige behandlingsvejledning, og hvordan den vil blive fulgt i praksis herunder inddragelse af praktiserende læger og behovet for at sikre ensartet behandling på tværs af regioner.

Rådet godkendte derefter protokollen for ADHD.

Rådet støttede også et forslag om at udarbejde en separat behandlingsvejledning for melatonin til søvnforstyrrelser, der også inkluderer personer med autisme. Dette forslag vil indgå i den samlede prioritering af hvilke kommende behandlingsvejledninger, der skal udarbejdes i Medicinrådet.

## Punkt 5

### Anbefaling: Tofersen (Qalsody) - Amyotrofisk lateral sklerose (ALS)

Fagudvalgsforperson Kirsten Svenstrup præsenterede de kliniske data vedrørende tofersen (Qalsody) til behandling af amyotrofisk lateral sklerose (ALS) med mutationer i SOD1-genet. Fagudvalgsforpersonen beskrev herudover, at det anses for at være klinisk relevant at gøre et behandlingsforsøg med tofersen, selvom data er meget usikre, fordi nogle patienter forventes at have en gavnlig effekt.

Sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser og udkast til anbefaling.

Rådet anerkendte de manglende behandlingsmuligheder, og sjældenheden af ALS med SOD1 mutationer. Rådet drøftede særligt den sparsomme evidens, studiets korte opfølgningstid og den høje pris på lægemidlet. Rådet drøftede også bivirkningerne ved behandlingen og muligheden for at fastlægge start- og stop-kriterier. Rådet lagde vægt på den usædvanligt store usikkerhed omkring effekten, sammenholdt med den meget høje pris for behandlingen.

Rådet drøftede om anbefalingsteksten burde opfordre virksomheden til at komme tilbage med en væsentlig bedre pris aftale. Dette mente flertallet i Rådet ikke var nødvendigt, idet virksomheden altid har mulighed for at vende tilbage med en bedre pris, samtidig med at prisen var meget langt fra at være acceptabel i lyset af de store grundlæggende usikkerheder.

Rådet besluttede herefter følgende:

#### Medicinrådet anbefaler ikke

tofersen som tillæg til standardbehandling for voksne patienter med amyotrofisk lateral sklerose (ALS) med en mutation i superoxiddismutase 1 (SOD1)-genet.

ALS er en sjælden, progressiv neurodegenerativ sygdom, der påvirker motorneuroner i hjernen og rygmærven. Den nuværende standardbehandling består af riluzol og symptomlindring.

Medicinrådet vurderer, at det er meget usikkert, om der er effekt af at tillægge tofersen til nuværende standardbehandling. Dette skyldes, at det kliniske studie ikke kunne påvise en effekt på patienternes funktionsniveau målt ved "ALS Functional Rating Scale-Revised" (ALSFRS-R). Usikkerheden om effekten skyldes for kort opfølgningstid i studiet.

Tofersen administreres ved en injektion i rygmærsvæsken (lumbalpunktur) hver 4. uge. Behandlingen er forbundet med hyppige bivirkninger, hvoraf nogle er alvorlige. Bivirkningerne relaterer sig både til lægemidlet men også til administrationsformen.

Omkostningerne ved behandling er meget høje, især prisen på tofersen, men der er også betydelige omkostninger forbundet med administrationsformen. Medicinrådet vurderer, at effekten af behandlingen ikke er tilstrækkeligt dokumenteret, og at omkostningerne er uacceptabelt høje.

## Punkt 6

### Anbefaling: Amivantamab (Rybrevant) + carboplatin og pemetrexed - Ikke-småcellet lungekræft

Fagudvalgsforperson Lotte Holm Land præsenterede de kliniske data vedrørende amivantamab (Rybrevant) + carboplatin og pemetrexed til behandling af ikke-småcellet lungekræft. Fagudvalgsforpersonen beskrev herudover, at det er en klinisk relevant behandling til patientgruppen, fordi behandlingen kan forlænge overlevelsen. Sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser og udkast til anbefaling.

Rådet drøftede studiepopulationens sammenlignelighed med danske patienter, patienternes prognose og effekten på livskvalitet, progressionsfri overlevelse og overlevelse.

Rådet vurderede, at de estimerede inkrementelle omkostninger per vundet QALY (ICER) var for høje i Medicinrådets analyser, således at omkostningerne ikke står mål med den forventede sundhedsgevinst. Derfor opfordres virksomheden til at vende tilbage med en lavere pris.

Rådet besluttede herefter følgende:

#### Medicinrådet anbefaler ikke

amivantamab i kombination med carboplatin og pemetrexed til førstelinjebehandling af voksne patienter med fremskreden ikke-småcellet lungekræft med aktiverende epidermal vækstfaktorreceptor (EGFR) exon 20-insertionsmutationer.

Medicinrådet vurderer, at tillæg af amivantamab til nuværende standardbehandling (carboplatin og pemetrexed) forlænger tiden til forværring af sygdommen og kan forlænge patienternes levetid. Det er dog usikkert, hvor meget længere overlevelse behandlingen kan medføre, fordi patienterne er fulgt i kort tid i forhold til deres prognose. Tillæg af amivantamab til kemoterapi øger risikoen for alvorlige bivirkninger.

Prisen for amivantamab er høj, og Medicinrådet vurderer, at omkostningerne er for høje i forhold til effekten.

Medicinrådet opfordrer virksomheden til at vende tilbage med en lavere pris.

---

## Punkt 7 og 8

### Anbefaling: Lisocabtagene maraleucel (Breyanzi) - 2. linje behandling af diffust storcellet B-celle lymfom (DLBCL) og 3. linje behandling af DLBCL

Punkt 7 og 8 blev drøftet som et samlet punkt.

Fagudvalgsforperson Ahmed Ludvigsen Al-Mashhadi præsenterede de kliniske data vedrørende lisocabtagene maraleucel (liso-cel) til 2. linje og 3. linje behandling af diffust storcellet B-celle lymfom (DLBCL). Sekretariatet præsenterede for hver linje de tilhørende sundhedsøkonomiske analyser og udkast til anbefalingstekster. Fagudvalgsforpersonen beskrev, at fagudvalget for begge behandlingslinjer har vurderet, at liso-cel har sammenlignelig effekt og sikkerhed med axicabtagene ciloleucel (axi-cel), som er nuværende standardbehandling.

Rådet spurgte ind til forventet tid fra udtagelse af patientens celler til cellerne gives tilbage til patienten igen, hvilket har betydning for den forventede effekt og anvendelsen af bridging-terapi. Rådet drøftede praktiske forhold ift. certificering af relevante hospitalsafdelinger og ibrugtagning af liso-cel behandling. Rådet anmodede om, at der i klinikken indsamles opfølgingsdata på patienter, der modtager behandling med liso-cel på samme måde, som for patienter, der modtager behandling med axi-cel, og at Rådet præsenteres for disse data samtidigt.

Rådet lagde vægt på, at liso-cel og axi-cel anses for klinisk ligeværdige behandlinger i både 2. og 3. linje, og at omkostninger til de to behandlinger også er på samme niveau.

Rådet besluttede herefter følgende:

#### Medicinrådet anbefaler

lisocabtagene maraleucel (liso-cel) til behandling af voksne patienter med kræfttyperne recidiveret eller refraktært (R/R) diffust storcellet B-celle lymfom, high-grade lymfom, primært mediastinalt storcellet B-celle lymfom og follikulært lymfom grad 3B, som oplever tilbagefald inden for 12 måneder efter gennemførelse af eller er refraktære til førstelinje kemo-immunterapi.

Anbefalingen gælder patienter i god almen tilstand (performance status 0 og 1).

Medicinrådet vurderer, at liso-cel har sammenlignelig effekt og sikkerhed med axicabtagene ciloleucel (axi-cel), som patienterne tilbydes i dag. Dokumentationen er usikker, da den bygger på en indirekte sammenligning af to studier, hvor både patienterne og studiedesign varierer. Studierne viser dog meget ensartede resultater, og Medicinrådet vurderer derfor, at den kliniske effekt og sikkerhed er ligeværdig.

Medicinrådets anbefaling omfatter muligheden for at anvende holding- og bridging-terapi til de patienter, som er kandidater til behandlingen, og som har samtykket til at modtage behandling med liso-cel. Medicinrådet understreger vigtigheden af, at tiden fra leukaferese til infusion af liso-cel ikke er væsentligt længere end tiden observeret i det kliniske studie.

Medicinrådet opfordrer Dansk Lymfom Gruppe til at opsamle data vedrørende behandlingens indikation, effekt, sikkerhed, anvendelse af holding- og bridging-terapi samt tid fra leukaferese til infusion, ligesom for axi-cel.

Omkostningerne til behandling med liso-cel er på niveau med omkostningerne for axi-cel. Medicinrådet anbefaler, at regionerne anvender den behandling, der er forbundet med de laveste omkostninger.

## Medicinrådet anbefaler

lisocabtagene maraleucel (liso-cel) til behandling af voksne patienter med kræfttyperne recidiveret eller refraktært (R/R) diffust storcellet B-celle lymfom, primært mediastinalt storcellet B-celle lymfom og follikulært lymfom grad 3B efter to eller flere andre systemiske behandlinger.

Anbefalingen gælder patienter i god almen tilstand (performance status 0 og 1).

Medicinrådet vurderer, at liso-cel har sammenlignelig effekt og sikkerhed med axicabtagene ciloleucel (axi-cel), som patienterne tilbydes i dag. Dokumentationen er usikker, da den bygger på en sammenligning af to ukontrollerede studier. Studierne viser dog meget ensartede resultater, og Medicinrådet vurderer derfor, at den kliniske effekt og sikkerhed er ligeværdig.

Medicinrådets anbefaling omfatter muligheden for at anvende holding- og bridging-terapi til de patienter, som er kandidater til behandlingen, og som har samtykket til at modtage behandling med liso-cel. Medicinrådet understreger vigtigheden af, at tiden fra leukaferese til infusion af liso-cel ikke er væsentligt længere end tiden observeret i det kliniske studie.

Medicinrådet opfordrer Dansk Lymfom Gruppe til at opsamle data vedrørende behandlingens indikation, effekt, sikkerhed, anvendelse af holding- og bridging-terapi samt tid fra leukaferese til infusion, ligesom for axi-cel.

Omkostningerne til behandling med liso-cel er på niveau med omkostningerne for axi-cel. Medicinrådet anbefaler, at regionerne anvender den behandling, der er forbundet med de laveste omkostninger

---



## Punkt 9

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

Sekretariatet præsenterede et kort overblik over regionernes model for betingede anbefalinger, hvor lægemidler kan anbefales i en tidsbegrænset periode til en lavere pris, mens der indsamles supplerende evidens. Formålet er at reducere usikkerheden om effekten, samt at sundhedsvæsenet og virksomheden deler den økonomiske risiko ved usikkerheden om effekten af behandlingen i perioden.

Herefter præsenterede sekretariatet de kliniske data, resultater af den sundhedsøkonomiske analyse med det nye prisbud fra virksomheden samt udkast til anbefaling.

Fagudvalgets vurdering er, at det er en klinisk relevant behandling, særligt til en andel af patienterne, der er kemo-refraktære (4+ linje). Fagudvalgsformand Ahmed Ludvigsen Al-Mashhadi deltog på dette punkt for at kunne svar på eventuelle spørgsmål.

Rådet drøftede igen den betydelige usikkerhed i datagrundlaget, som primært skyldes at epcoritamab kun er undersøgt i et enkeltarmet fase I/II studie, som i Medicinrådets analyse er sammenlignet med dansk registerdata. Rådet havde i februar vurderet, at ansøgers daværende pristilbud ikke var lavt nok til, at usikkerhederne imødekommes tilstrækkeligt, og havde sat sagen i clock-stop med henblik på at forhandle en lavere pris.

Rådet drøftede specifikt ansøgers nyeste pristilbud, herunder sandsynlighed for omkostningseffektivitet ved forskellige ICER estimater i relation til risikodeling. Rådet vurderede, at prisen fortsat ikke er lav nok til, at det resulterer i en rimelig risikodeling i forhold til en vurderede effekt af behandlingen.

Rådet lagde vægt på, at det seneste prisforslag ikke gav væsentligt anderledes resultater end det prisforslag, som blev drøftet på rådsmødet i februar.

Rådet besluttede herefter følgende:

#### Medicinrådet anbefaler ikke

epcoritamab som monoterapi til behandling af voksne kræftpatienter med refraktær/relaps diffust storcellet B-cellelymfom (DLBCL) efter to eller flere systemiske behandlinger.

Medicinrådet vurderer, at behandling med epcoritamab øger overlevelsen for patienter med DLBCL sammenlignet med nuværende standardbehandling, som er kemoterapi i kombination med rituximab.

På grund af væsentlig usikkerhed i datagrundlaget er det dog usikkert, hvor stor overlevelsesgevinsten er. Sammenligningen af bivirkninger er usikker, men andelen af alvorlige uønskede hændelser kan være højere ved behandling med epcoritamab.

Epcoritamab er dyrere end den nuværende behandling. Medicinrådet har vurderet et tilbud om en betinget anbefaling med henblik på risikodeling mellem virksomheden og Medicinrådet. Medicinrådet vurderer, at den tilbudte pris ikke i væsentlig grad tager højde for usikkerheden om den dokumenterede effekt af behandlingen og anbefaler derfor ikke epcoritamab.

## Punkt 10

### Anbefaling (revurdering): Secukinumab (Cosentyx) - Hidrosadenitis suppurativa

Fagudvalgsforperson Kristian Fredløv Mose præsenterede de kliniske data vedrørende secukinumab (Cosentyx) til behandling af hidrosadenitis suppurativa (HS). Fagudvalgsforpersonen beskrev herudover, at det er en klinisk relevant behandling til patientgruppen.

Sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser og udkast til anbefaling.

Rådet drøftede datagrundlaget og usikkerhederne ift. det høje placeborespons og fremskrivning af data på baggrund af kort opfølgningstid. Rådet spurgte ind til effekten af at øge doseringsfrekvens fra hver 4. uge til hver 2. uge og til modellering af doseringsfrekvensen og behandlingsophør i den sundhedsøkonomiske model.

Rådet lagde vægt på, at der ikke kan dokumenteres en forskel i effekt ved at øge doseringsfrekvensen fra hver 4. uge til hver 2. uge, og at en hyppigere doseringsfrekvens må forventes at øge omkostningerne. Rådet vurderede derfra, at de estimerede omkostninger per vundet QALY (ICER) kan forventes at være på et niveau, hvor omkostningerne står mål med den forventede sundhedsgevinst, hvis lægemidlet gives med en doseringsfrekvens hver 4. uge.

Rådet drøftede mulighederne for at fastlægge start- og stop-kriterier og besluttede at bede fagudvalget vedr. HS om at præcisere start- og stop-kriterier for biologisk behandling af HS på et senere rådsmøde.

Rådet besluttede herefter følgende:

#### Medicinrådet anbefaler

secukinumab til hudsygdommen moderat til svær hidrosadenitis suppurativa (HS) hos voksne med utilstrækkelig respons på konventionel systemisk behandling og behandling med mindst et andet biologisk lægemiddel. Anbefalingen gælder kun for dosering hver 4. uge.

HS er en kronisk inflammatorisk hudsygdom med smertefulde og kløende hudlæsioner (dybtliggende knuder, bylder og tunneller under huden), som opstår i hårsækkene ved hudfolder.

Behandling med secukinumab kan efter 16 ugers behandling reducere hudlæsioner og smerter samt forbedre livskvaliteten hos flere patienter end standard systemisk behandling. For en del patienter vil secukinumab dog ikke have effekt. Derfor er det vigtigt med regelmæssig monitorering af patienterne og ophør af behandlingen, hvis effekten udebliver eller ophører. Der er ikke påvist forskel i effekt ved øget doseringsfrekvens.

Der er risiko for bivirkninger ved behandling med secukinumab, oftest infektioner, som kan være alvorlige.

Medicinrådet vurderer, at omkostningerne til secukinumab er høje sammenlignet med standardbehandling, men vurderer samlet set, at omkostningerne er rimelige i forhold til effekten.

## **Punkt 11**

### **Strategi: Medicinrådets strategi 2025-2027**

Direktør Søren Gaard præsenterede udkast til Medicinrådets strategi for 2025 til 2027.

Rådet gav input til strategien i december 2024, som var imødekommet i den nuværende tekst.

Rådet drøftede bl.a. strategiens titel, mission og vision, samt gav forslag til konkrete formuleringer. Rådet godkendte strategien og gav sekretariatet mandat til at færdiggøre den, inden den publiceres. Den færdige strategi forventes vedlagt rådsmødet i april.

## **Punkt 12**

### **Direktørens meddelelser**

Direktør Søren Gaard gav en status på antallet af sager, der skal behandles i år, og nævnte, at der er et stort inflow af ansøgninger, hvilket påvirker sagsbehandlingstiderne. Direktøren orienterede om en nyhed på hjemmesiden om travlhed. Berørte virksomheder er blevet orienteret.

Direktøren orienterede dernæst om, at der er kommet mange borgerhenvendelser på pletvis hårtab, hvor et nyt lægemiddel er på vej gennem Medicinrådet.

## **Punkt 13**

### **Skriftlig orientering**

Intet til godkendelse.

## **Punkt 14**

### **Eventuelt**

Næste rådsmøde i Medicinrådet er onsdag den 23. april 2025.