

Referat

Mødetitel 82. rådsmøde i Medicinrådet

Dato 23.08.2023

Sted Virtuelt via Teams

Deltagere

- Jørgen Schøler Kristensen (formand)
- Kim Brixen
- Kirsten Wisborg
- Jens Friis-Bak
- Peder Gunner Fabricius (logget på kl. 11.00)
- Charlotte Birkmose Rotbøl (logget af kl. 12.30-13.30)
- Birgitte Klindt Poulsen
- Christine Dinsen-Andersen
- Anne Lene Riis
- Dorte Lisbet Nielsen
- Dorte Gyrd-Hansen
- Rikke Søgaard
- Morten Freil
- Lisbeth Høeg-Jensen

Observatører

- Ida Sofie Jensen
- Dorthe Bartels
- Kristin Skougaard

Afbud fra Rådet

- Steen Werner Hansen (formand)
- Hanne Rolighed Christensen
- Simon Tarp
- Niels Obel

Fra sekretariatet

Birgit Mørup, Christina M.F. Jensen (referent), Resmije Aliji, Diana Milling Olsen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Dorte Glintborg, Jane Skov, Camilla Nybo Holmberg, Ehm Andersson Galijatovic, Marie Louise Sjølie, Karen Agerbæk Jørgensen.

Formand Jørgen Schøler Kristensen bød velkommen til det 82. rådsmøde i Medicinrådet.

Formanden bød særligt velkommen til nyt rådsmedlem, Charlotte Birkmose Rotbøl, da dette var hendes første møde i Rådet som repræsentant fra Region Nordjylland.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Godkendelse af referat

Intet til godkendelse.

Punkt 3

Anbefaling: Pembrolizumab (Keytruda) i kombination med kemoterapi - Livmoderhalskræft

Fagudvalgsformand Trine Zeeberg Iversen præsenterede det kliniske data vedrørende pembrolizumab i kombination med kemoterapi til livmoderhalskræft, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og stillede spørgsmål til praksis for test og kombinationen med bevacizumab.

Rådet besluttede herefter følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler pembrolizumab i kombination med kemoterapi med eller uden bevacizumab til behandling af patienter med uhelbredelig livmoderhalskræft og PD-L1 CPS \geq 1.

Medicinrådet vurderer, at behandlingen kan forlænge patienternes levetid sammenlignet med kemoterapi (+/- bevacizumab) alene, som er den behandling, patienterne får i dag. Behandlingen er dog forbundet med en højere forekomst af bivirkninger. Omkostningerne til behandlingen er højere end nuværende standardbehandling.

Medicinrådet vurderer dog samlet set, at omkostningerne til behandlingen er rimelige i forhold til den dokumenterede effekt. Medicinrådet anbefaler, at pembrolizumab gives i vægtbaseret dosering i op til to år.

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

Sagsbehandlingstiden (fra Dag 0) har været 15 uger og 1 dag.

Punkt 4

Anbefaling: Ændring i formulering af Rådets anbefaling af tafamidis (Vyndaqel) til patienter med alvorlig arvelig amyloidose

Sekretariatet præsenterede udkast til en ændring i Medicinrådets anbefaling vedrørende tafamidis til behandling af transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati. Ændringen skyldes en ændring i klinisk praksis, hvor der ikke længere opskrives til levertransplantation ved første sygdomstegn hos disse patienter.

Rådet drøftede ændringen med sekretariatet og påpegede usikkerheden om behandlingsvarigheden, når patienterne ikke længere får levertransplantation. Rådet drøftede desuden muligheden for at revurdere anbefalingen til patienter med anden arvelig og vildtype amyloidose med kardiomyopati, hvis der kommer en ny og lavere pris på tafamidis.

Rådet var dog enig i at ændre formuleringen i anbefalingen og besluttede følgende:

Medicinrådet anbefaler/anbefaler ikke

Medicinrådet **anbefaler** tafamidis til behandling af voksne patienter med arvelig transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati. Anbefalingen gælder kun patienter i NYHA-klasse I og II, som har dokumenteret hjerteinvolvering ved myokardiebiopsi. Anbefalingen gælder ligeledes kun patienter med forventede alvorlige forløb, hvor levertransplantation tidligere har været behandlingspraksis, og patienter, hvor hjertetransplantation eller kombineret lever/hjertetransplantation overvejes indenfor en kortere årrække.

Behandling med tafamidis kan sandsynligvis udskyde tiden til sygdomsforværring. Der er få bivirkninger ved tafamidis.

Medicinrådet vurderer derfor, at de samlede udgifter er rimelige i forhold til lægemidlets forventede effekt i denne patientpopulation med meget alvorlig sygdom.

Medicinrådet **anbefaler ikke** tafamidis til behandling af øvrige voksne patienter med arvelig og vildtype transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati.

Behandling med tafamidis kan udskyde tiden til sygdomsforværring og forlænge overlevelsen for nogle af patienterne sammenlignet med ingen aktiv behandling. Der er dog usikkert, hvor meget længere patienterne lever på grund af behandlingen, fordi patienterne er fulgt i for kort tid i forhold til deres prognose. Der er få bivirkninger ved tafamidis.

Patienterne i denne gruppe skal sandsynligvis have behandlingen i mange år. Medicinrådet vurderer derfor samlet set, at omkostningerne er for høje, særligt når man tager usikkerheder om effektens størrelsesorden hen over et helt sygdomsforløb med i betragtning.

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

Punkt 5

Anbefaling (opfølgning): Onasemnogene abeparovvec (Zolgensma) – Spinal muskeltrofi

Fagudvalgsmedlem Christina Høi-Hansen og sekretariatet præsenterede opfølgningsdata for Medicinrådets anbefaling vedrørende onasemnogene abeparovvec til behandling af spinal muskeltrofi. Det omfattede opfølgningsdata fra virksomheden samt data for de danske patienter, som er blevet behandlet til dato.

Rådet drøftede mulighederne for at indsamle data for flere patienter på europæisk plan med fagudvalgsmedlemmet. Rådet drøftede også mulighederne for nyt pristilbud.

Rådet besluttede herefter, at anbefalingen fra 2021 fastholdes, men sætningen om opfølgningsdata slettes, og Rådet vil ikke efterspørge yderligere opfølgningsdata fra virksomheden. Nyere data for onasemnogene abeparovvec vil

naturligt kunne indgå ved fremtidige opdateringer af Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende spinal muskelatrofi.

Anbefalingen ser herefter således ud:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet anbefaler onasemnogene abeparovvec til spædbørn med spinal muskelatrofi, fordi Medicinrådet vurderer, at behandlingen samlet set er lige så god som nusinersen, som er den behandling, patienterne får i dag.

Onasemnogene abeparovvec gives kun en eneste gang, mens nusinersen gives vedvarende hver 4. måned. Det betyder, at omkostningerne per patient til de to behandlinger udlignes efter en årrække. Med de nuværende forudsætninger er denne periode mellem 8 og 15 år, men der er en betydelig usikkerhed.

Anbefalingen omfatter spædbørn med SMA type 1, der får behandlingen, inden de bliver seks måneder, og ikke er i permanent ventilationsbehandling i mere end 16 timer/døgn. Anbefalingen omfatter også spædbørn, der er født med sygdommen, men endnu ikke har haft symptomer.

Børn ældre end seks måneder er oftest allerede velbehandlet med nusinersen. Skift til onasemnogene abeparovvec kan overvejes 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.

Medicinrådet anbefaler ikke, at man kombinerer nusinersen og onasemnogene abeparovvec (dvs. tillægger nusinersen efter onasemnogene abeparovvec eller fortsætter med nusinersen efter onasemnogene abeparovvec).

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

Punkt 6

Anbefaling: Avacopan (CCX168) – Antineutrofil cytoplasmisk antistof (ANCA)-associeret vaskulitis

Fagudvalgsformand Annemarie Lyng Svensson præsenterede det kliniske data vedrørende avacopan til antineutrofil cytoplasmisk antistof (ANCA)-associeret vaskulitis, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser samt udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden, og Rådet mente ikke, at det er muligt at afgrænse en patientgruppe, der ikke tåler den nødvendige dosering af kortikosteroid, og som dermed kunne være kandidater til behandling med avacopan.

Rådet besluttede efter drøftelserne følgende:

Medicinrådet anbefaler ikke

Medicinrådet anbefaler ikke avacopan i tillæg til rituximab eller cyclophosphamid til patienter med aktiv antineutrofil cytoplasmaantistof (ANCA)-associeret vaskulitis (systemisk blodkarsbetændelse, AAV) med granulomatose med polyangiitis eller mikroskopisk polyangiitis.

Tillæg af avacopan er ikke mere effektivt til at bringe sygdommen i ro end nuværende standardbehandling.

Medicinrådet vurderer, at tillæg af avacopan kan nedbringe patienternes behov for kortikosteroid. Der er dog i dansk klinisk praksis god erfaring med at aftrappe steroidforbruget, når sygdommen er i ro. Derfor er det usikkert, hvor meget gavn patienter vil have af at tillægge avacopan. Samtidig er avacopan væsentligt dyrere end den nuværende behandling. På den baggrund anbefaler Medicinrådet ikke avacopan som standardbehandling til patienter med AAV.

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

Sagsbehandlingstiden (fra Dag 0) har været 15 uger og 1 dag.

Punkt 7

Behandlingsvejledning: Immunglobulinsubstitution til behandling af sekundære immundefekter

Fagudvalgsformand Jannik Helweg-Larsen præsenterede udkast til Medicinrådets behandlingsvejledning vedrørende immunglobulinsubstitution ved sekundær immundefekt. Fagudvalgsformanden fokuserede på ændringer siden seneste udkast angående bl.a. opstartskriterier, som fagudvalget har skærpet efter Rådets drøftelser på seneste rådsmøde.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden, herunder om nye hæmatologiske behandlinger vil medføre, at flere patienter skal i immunglobulinbehandling.

Rådet spurgte til mortalitet ved infektioner for hæmatologiske patienter, og om opstartskriterierne var defineret for skarpt for patienter med IgG mellem 4 og 6 g/L.

Fagudvalget vil genoverveje opstartskriterierne for denne gruppe patienter og præsenterer dem for Rådet på et senere tidspunkt.

Punkt 8

Lægemiddelrekommandation: Kronisk migræne

Sekretariatet præsenterede udkast til Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedrørende lægemidler til kronisk migræne.

Rådet drøftede udkastet med sekretariatet og stillede særligt spørgsmål til konsekvenserne af, at en intravenøs behandling bliver førstevalg i den nye rekommandation, da det tidligere førstevalg var en subkutan behandling.

Der var også spørgsmål til omkostningsanalysen, herunder om den inddrager CO₂-regnskab og tager hensyn til ressourcetræk på kliniske afdelingers personale.

Rådet har tidligere godkendt, at der blev foretaget en ændring af efterlevelsesholdningen fra 85 % til 70 % i det kliniske sammenligningsgrundlag, og at det ikke anbefales at skifte nuværende patienter men alene igangsætte nye patienter med førstevalget. Rådet udtrykte dog bekymring for, det kunne medføre et øget ressourcetræk på kliniske afdelinger og ulemper for patienterne at skulle benytte intravenøs behandling.

Rådet besluttede at godkende rekommandationen på baggrund af den afholdte prisregulering, men bad sekretariatet om at vende tilbage med overvejelser i forhold til fremtidige rekommandationer.

Sekretariatet gjorde opmærksom på, at sekretariatet er i gang med at udarbejde en ny metodehåndbog for behandlingsvejledninger og relaterede produkter. I den sammenhæng vil sekretariatet præsentere et oplæg til, hvordan Medicinrådets omkostningsanalyser fremover kan beskrive flere dimensioner end økonomi, herunder personaleressourcer, kapacitet på kliniske afdelinger og bæredygtighed.

Rådet godkendte herefter udkast til Medicinrådets lægemiddelrekommandation vedr. kronisk migræne.

Medicinrådet offentliggør lægemiddelrekommandationen på Medicinrådet hjemmeside og sender den også til regionerne.

Punkt 9

Orientering: Status på implementering af Implement Consulting Groups analyse

Implement Consulting Group gav Rådet en status på arbejdet med implementering af analysen af Medicinrådet. Der er samlet set god fremdrift i implementeringsarbejdet. Rådet udtrykte stor tilfredshed med arbejdet.

Punkt 10

Formandskabets meddelelser

Formanden gav Rådet en status på den vakante direktørstilling i Medicinrådet. Der er ansøgningsfrist den 27. august 2023, og der er en bred interesse for stillingen.

Formanden orienterede også kort Rådet om det kommende rådsmøde den 27. september 2023, som både bliver et ordinært og tematisk rådsmøde med emnet 'Sundhedsøkonomi som beslutningsstøtte'.

Formanden gav herefter Rådet en status på arbejdet med HTA-forordningen, hvor første møde i ministeriets arbejdsgruppe vedr. implementering af forordningen i Danmark nu har været afholdt. Udover Medicinrådet er der deltagere fra Lægemiddelstyrelsen, Behandlingsrådet, Danske Regioner og Sundhedsstyrelsen, som alle er blevet bedt om at levere input til, hvordan organiseringen kan se ud. Fokus er på, hvordan ansvars- og opgavefordelingen samt samarbejdet mellem de danske aktører skal fungere efter 2025.

Endeligt orienterede formanden Rådet om sager til skriftlig godkendelse, hvor sekretariatet vil forsøge at lave en fast kadence for fremsendelse af sager til Rådet.

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 27. september 2023 og er kombineret med et tematisk rådsmøde.