

Medicinrådets  
omkostningsanalyse  
vedrørende lægemidler til  
behandling af Fabrys sygdom

Omk



## Om Medicinrådet

Medicinrådet er et uafhængigt råd etableret af Danske Regioner.

Medicinrådet udarbejder fælles regionale behandlingsvejledninger. Behandlingsvejledningerne indeholder vurderinger af, hvilke lægemidler der er mest hensigtsmæssige at behandle patienter med inden for et terapiområde. De danner dermed grundlag for ensartet høj kvalitet for behandling af patienter på tværs af sygehuse og regioner.

Medicinrådet angiver kliniske rangeringer af de inkluderede lægemidler på baggrund af en redegørelse for evidensen for klinisk effekt og sikkerhed.

## Formål med omkostningsanalysen

Medicinrådet udarbejder omkostningsanalyser, når der i forbindelse med udarbejdelsen af en behandlingsvejledning inden for et specifikt sygdomsområde identificeres to eller flere lægemidler, hvor der ikke vurderes at være klinisk relevante forskelle mellem effekt og sikkerhed. Disse lægemidler betragtes som klinisk ligeværdige og ligestilles.

Når lægemidler er ligestillet, skal regionerne som udgangspunkt anvende det af de ligestillede lægemidler, der er forbundet med færrest omkostninger. For at afgøre det skal der tages højde for både de behandlingsrelaterede omkostninger og lægemidlets omkostninger.

Omkostningsanalysens formål er primært at vurdere ressourceforbruget, ud over lægemiddelprisen, relateret til behandling med de ligestillede lægemidler. Omkostningsanalysen udarbejdes på baggrund af et klinisk sammenligningsgrundlag. Det kliniske sammenligningsgrundlag indeholder oplysninger om sammenligningsdosis, doseringsinterval og sammenligningsperiode for de ligestillede lægemidler. Desuden kan lægemidler i kategorien "overvej" også inkluderes, hvis det vurderes relevant.

På baggrund af resultatet af omkostningsanalysen og udbudspriserne på lægemidlerne identificerer Medicinrådet det af de ligestillede lægemidler, der samlet set er forbundet med færrest omkostninger. Det lægemiddel vil som udgangspunkt blive førstevalg i en lægemiddelrekommandation, og de øvrige ligestillede lægemidler vil på baggrund af deres pris og de behandlingsrelaterede omkostninger indgå i en prioriteret rækkefølge.



Dokumentoplysninger	
Godkendelsesdato	18. december 2024
Dokumentnummer	209611
Versionsnummer	1.0



# Indholdsfortegnelse

<b>1.</b>	<b>Omkostningsanalysen</b> .....	<b>4</b>
1.1	Generelt om analysen.....	4
1.2	Metode .....	5
1.3	Dataindsamling .....	5
1.3.1	Omkostninger til sundhedspersonale.....	6
1.3.2	Patientomkostninger .....	6
1.3.3	Geografisk variation .....	6
<b>2.</b>	<b>Resultat</b> .....	<b>7</b>
2.1	Omkostninger ved årskontrol .....	7
2.2	Omkostninger til vedligeholdelse af behandling .....	8
2.2.1	Usikkerheder.....	9
<b>3.</b>	<b>Bilag</b> .....	<b>10</b>
3.1	Klinisk sammenligningsgrundlag.....	10
3.2	Ressourceforbrug og enhedsomkostninger.....	11
3.2.1	Årskontrol .....	11
3.2.2	Agalsidase alfa (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling .....	12
3.2.3	Agalsidase beta (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling.....	12
3.2.4	Pegunigalsidase alfa (i.v.) - vedligeholdelsesbehandling .....	13
3.2.5	Migalastat (p.o.) – vedligeholdelsesbehandling .....	14
3.3	Forløbsbeskrivelse over ressourceforbrug i klinikken.....	14
3.3.1	Årskontrol .....	14
3.3.2	Agalsidase alfa (i.v.) - vedligeholdelsesbehandling .....	15
3.3.3	Agalsidase beta (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling.....	16
3.3.4	Pegunigalsidase alfa (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling .....	17
3.3.5	Migalastat (p.o.) – vedligeholdelsesbehandling .....	18
<b>4.</b>	<b>Versionslog</b> .....	<b>19</b>

© Medicinrådet, 2024  
Publikationen kan frit refereres  
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk  
Format: pdf  
Udgivet af Medicinrådet, 19. december 2024



# 1. Omkostningsanalysen

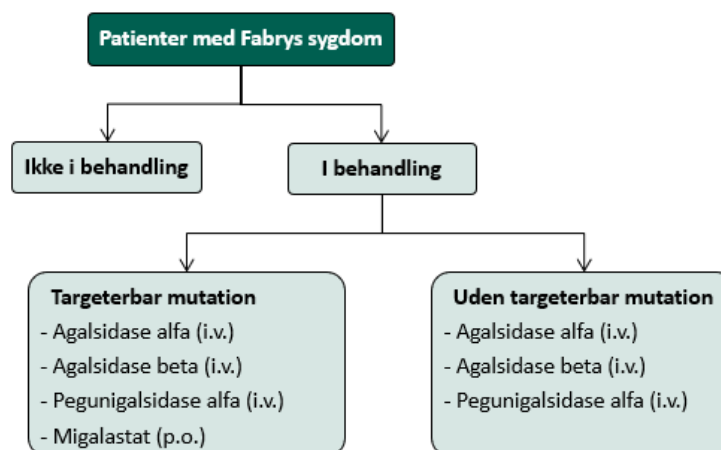
## 1.1 Generelt om analysen

Denne omkostningsanalyse belyser de behandlingsrelaterede omkostninger forbundet med behandling til Fabrys sygdom og er udarbejdet på baggrund af behandlingsvejledningen omhandlende [Fabrys sygdom](#).

Rapporten indeholder en omkostningsanalyse for de fire lægemidler, der aktuelt anvendes til behandlingen af Fabrys sygdom, som anført i det kliniske sammenligningsgrundlag, se bilag 3.1.

Fabrys sygdom er en sjælden tilstand, hvor behandlingsansvaret udelukkende varetages af Rigshospitalet. Voksne patienter følges på Afdelingen for Nyre og -Hormonsygdomme. I Danmark er der diagnosticeret syv børn med Fabrys sygdom, hvoraf fire modtager behandling på afdelingen for Sjældne Sygdomme. Behandlingen af børn er en yderligere specialopgave og indgår ikke i denne analyse.

Cirka halvdelen af de patienter, der er tilknyttet afdelingen, modtager behandling med enten enzymerstatningsterapi (i.v.) eller migalastat (p.o.), den anden halvdel følges også af afdelingen til kontrol hvert 3. år. Behandlingen af patienter inddeles efter, om de har en mutation hvortil der findes en targeterbar behandling, der kan målrettes terapeutisk eller ej. Hvis de intravenøse enzymbehandling har god effekt, kan behandlingen varetages på lokalt sygehus eller som hjemmeinfusion. Nedenstående figur illustrerer hvor mange muligheder for behandling der er for Fabrys sygdom, med og uden targeterbar mutation.



Baseret på et vægtet gennemsnit af Amgros' salgstal, estimerer Medicinrådet, at cirka 35 % af de patienter, der modtager intravenøs behandling, får denne behandling på Rigshospitalet hver anden uge, mens 65 % får infusionerne hos egen læge, på det lokale sygehus eller er blevet oplært til hjemmeinfusion. Patienter, der behandles med migalastat, får medicinen udleveret hvert kvartal og kontrolleres hvert halve år med blodprøver og urinprøver, begge dele på Rigshospitalet.



Afdelingen på Rigshospitalet har begrænset klinisk erfaring med administration af pegunigalsidase alfa, da de har haft to patienter i behandling. Derfor vurderes det, at ressourceforbruget forbundet med behandling med pegunigalsidase alfa vil være sammenligneligt med ressourceforbruget ved behandling med de to andre intravenøse lægemidler, agalsidase alfa og agalsidase beta.

## 1.2 Metode

På Medicinrådets [hjemmeside](#) under behandlingsvejledninger og lægemiddelrekommandationer er de generelle metoder for Medicinrådets omkostningsanalyser beskrevet i metodevejledningen.

Omkostningsanalysen fokuserer på vedligeholdelses-behandlingen af patienter med Fabrys sygdom. Da behandlingen typisk er livslang, er analysen baseret på et års vedligeholdelsesbehandling som et repræsentativt udsnit af et mangeårigt behandlingsforløb.

I vedligeholdelsesbehandling er alle behandlingsrelaterede omkostninger, der er relevante for et repræsentativt patientforløb med Fabrys sygdom, medtaget. Dette inkluderer klargøring af medicin, administration, observation og monitorering, telefonkonsultationer samt medicinudlevering. Derudover er undersøgelsesomkostningerne ved årskontrol i forbindelse med behandlingen medregnet. Endelig tages driftsomkostninger for behandlingsrelaterede faciliteter og patienternes tidsforbrug til transport med i beregningerne.

## 1.3 Dataindsamling

Forløbsbeskrivelserne over ressourceforbruget i klinikken for anvendelse af lægemidlerne er indsamlet gennem et besøg på den behandlende afdeling på Rigshospitalet. Her er behandlende sygeplejerske og en koordinerende lægesekretær blevet adspurgt om estimater. Derudover har behandlende læge kvalificeret oplysningerne omhandlende tidsestimater og fordelingen af patienterne. På den baggrund har Medicinrådet udarbejdet forløbsbeskrivelser over ressourceforbruget i klinikken for hvert af lægemidlerne. Med en lille patientpopulation for øje, hvor patientforløbene er tilpasset den enkelte, er forløbsbeskrivelserne udarbejdet med henblik på at sikre, at de i størst muligt omfang er repræsentative for dansk klinisk praksis, uden at tage individuelle hensyn.

Infusionstiderne er baseret på information fra lægemidlernes produktresuméer og er derefter blevet fastlagt i samarbejde med den behandlende sygeplejerske og læge på Rigshospitalet. Nogle patienter foretrækker længere infusionstid for at undgå infusionsrelaterede bivirkninger, hvilket kræver yderligere observation fra sygeplejersken. Dette er dog vanskeligt at kvantificere, og det er derfor ikke inkluderet i denne analyse.

Under monitoreringen af behandlingen, bliver der taget specielle blod- og urinprøver (plasma lyso-Gb3, plasma Gb3 og urin Gb3), og sendt til USA for analyse. Dette gøres en



gang hvert halve år for patienter i migalastat behandling, og en gang årligt for patienter i enzymerstatningsterapi og for de fleste patienter uden behandling. Udover tidsforbruget for bioanalytikereren der tager blodprøven og håndterer afsendelsen, er resten af omkostningerne ikke inkluderet i analysen, da de dækkes af lægemiddelfirmaet.

### 1.3.1 Omkostninger til sundhedspersonale

Arbejdstiden for hver faggruppe er værdisat på baggrund af løndata fra [Kommunernes og Regionernes Løndatakontor](#) og følger beregningsmetoden angivet i Medicinrådets "Værdisætning af enhedsomkostninger", der ligger under supplerende vejledninger til sundhedsøkonomiske analyser på [Medicinrådets hjemmeside](#).

### 1.3.2 Patientomkostninger

Patienternes omkostninger inkluderer tidsforbruget forbundet med behandlinger og monitoreringsbesøg samt tidsforbrug og udgifter forbundet med transport. Her benytter Medicinrådet sig af standardomkostningerne beskrevet i Medicinrådets "Værdisætning af enhedsomkostninger", der ligger under supplerende vejledninger til sundhedsøkonomiske analyser på [Medicinrådets hjemmeside](#).

### 1.3.3 Geografisk variation

Da behandlingen koordineres centralt fra Rigshospitalet, hvor alle kontroller finder sted, er der en betydelig geografisk variation i transportomkostningerne for den enkelte patient.

Beregningen af patienttid og transportomkostninger er baseret på et vægtet gennemsnit af salget på agalsidase alfa og agalsidase beta. Salget er opgjort fordelt på de sygehuse der administrerer og udleverer lægemidlerne. Det antages, at patienterne afhenter deres medicin på nærmeste sygehus og derfor bor i nærområdet. Den tid, patienterne bruger på transport til Rigshospitalet, er derfor beregnet som et vægtet gennemsnit på 156 minutter. Transportudgifterne er udregnet efter samme model og svarer til en gennemsnitlig afstand på 218 km med transportomkostninger på 3,79 kr./km. Herudover indeholder transportomkostninger udgifter til Storebæltsbroen. Disse udgifter til transport er gældende for alle de inkluderede lægemidler.

I analysen antages det, at patienter, der er i vedligeholdelsesbehandling og modtager intravenøs behandling på deres nærmeste sygehus, hos egen læge eller i eget hjem, har en gennemsnitlig transporttid på 45 minutter til behandlingsstedet, hvilket svarer til Medicinrådets standard estimat jævnfør Medicinrådets "Værdisætning af enhedsomkostninger".



## 2. Resultat

### 2.1 Omkostninger ved årskontrol

Omkostninger til årskontrol er beregnet efter samme fremgangsmåde for alle inkluderede lægemidler. Disse omkostninger, forbliver de samme, uanset hvilket lægemiddel patienten behandles med, og er beskrevet her, da de udgør en betydelig omkostning for klinikken.

Årskontrollen udføres på Rigshospitalet og de nærliggende hospitaler, hvor de specialiserede undersøgelser finder sted. Patienter fra Fyn og Jylland overnatter på patienthotellet, og baseret på Amgros' salgstal estimeres det, at ca. 65 % af patienterne gør dette. De resterende 35 % overnatter i eget hjem på Sjælland.

Årskontrollen estimeres at vare 2 dage, og udføres årligt for patienter i vedligeholdelsesbehandling. Denne kontrol kræver betydelig tid fra patienten, både i forhold til den tid, der bruges på undersøgelser, og den tid, der bruges på transport. Derudover er der en række omkostningstunge undersøgelser af hjerte og nyre forbundet med kontrollen. Årskontrollen er beregnet til 24.499 kr.

I Tabel 1 vises en samlet oversigt over omkostninger til ressourceforbrug for årskontrol. For yderligere specifikationer henvises til bilag hvor ressourceforbrug og enhedsomkostninger som er opført i Tabel 6, samt forløbsbeskrivelse over ressourceforbrug i klinikken der er skitseret i Tabel 10.

**Tabel 1. Samlede omkostninger til årskontrol foretaget på Rigshospitalet**

		Årskontrol
<b>Arbejdstid</b>	Læge	1.427 kr.
	Sygeplejersker	308 kr.
	Lægeseekretær	734 kr.
	Bioanalytiker	847 kr.
<b>Patientomkostninger</b>	Patienttid*	9.960 kr.
	Transport x	4.388 kr.
<b>Parakliniske undersøgelser</b>	Blodprøver	337 kr.
	Undersøgelser (Baseret på DRG-takster)	5.720 kr.
<b>Andet</b>	Drift samtalerum	778 kr.
<b>Samlet</b>	<b>Totalomkostninger</b>	<b>24.499 kr.</b>

\*Inkluderer behandlingsrelateret patienttid brugt ved fremmøde på sygehus, samt transporttid.

x Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg. Det inkluderer patienternes omkostninger forbundet ved transport, som ikke er tid.





## 2.2 Omkostninger til vedligeholdelse af behandling

I analysen er vedligeholdelsesbehandlingen beregnet for en periode på et år. Vedligeholdelsesbehandlingen for Fabrys sygdom består af en årlig kontrol, som alle patienter skal gennemgå uanset hvilket lægemiddel de behandles med. Forskellen mellem lægemidlerne ligger i administrationsform, opblanding og infusionstid.

Af lægemidlerne til behandling af patienter med Fabrys sygdom med en targeterbar mutation, er migalastat forbundet med færrest behandlingsrelaterede omkostninger på 40.064 kr. i sammenligningsperioden.

Dette skyldes, at migalastat er en per oral behandling, der kan foretages i eget hjem, hvilket reducerer både patientomkostningerne og sygeplejersketiden væsentligt.

For de intravenøse behandlinger er agalsidase alfa forbundet med de laveste behandlingsrelaterede omkostninger på 72.962 kr. Forskellen i omkostninger mellem de intravenøse behandlinger, ligger i tiden brugt på opblanding af lægemidlet og selve infusionstiden. Agalsidase alfa har infusionstid på 60 minutter og lægemiddel er nemmere at opblande, mens agalsidase beta og pegunigalsidase alfa har begge en infusionstid på 90 minutter og tager længere tid at opblande, og er forbundet med samme omkostninger på 77.957 kr.

Forskellen mellem den behandling med de laveste behandlingsrelaterede omkostninger og den dyreste behandling er 4.995 kr. pr. år.

De samlede omkostninger til ressourceforbrug for lægemidler til behandling af Fabrys sygdom er vist i Tabel 2.

I bilag 3.2 findes en oversigt over ressourceforbrug og de enkelte enhedsomkostninger for hvert lægemiddel til behandling.

**Tabel 2. Samlede omkostninger til ressourceforbrug for hvert lægemiddel til vedligeholdelsesbehandling af Fabrys sygdom (12 måneders behandling)**

		Agalsidase alfa (i.v.)	Agalsidase beta (i.v.)	Pegunigalsidase alfa (i.v.)	Migalastat (p.o.)
<b>Arbejdstid</b>	Læge	0 kr.	0 kr.	0 kr.	268 kr.
	Sygeplejersker	15.015 kr.	17.017 kr.	17.017 kr.	1.694 kr.
	Bioanalytiker	2.753 kr.	2.753 kr.	2.753 kr.	847 kr.
<b>Patientomkostninger</b>	Patienttid*	24.341 kr.	26.697 kr.	26.697 kr.	5.098 kr.
	Transport α	3.942 kr.	3.942 kr.	3.942 kr.	4.085 kr.
<b>Parakliniske undersøgelser</b>	Blodprøver	0 kr.	0 kr.	0 kr.	3.456 kr.



		Agalsidase alfa (i.v.)	Agalsidase beta (i.v.)	Pegunigalsidase alfa (i.v.)	Migalastat (p.o.)
<b>Andet</b>	Drift samtalerum	501 kr.	592 kr.	592 kr.	117 kr.
	Drift behandlingsstue	1.911 kr.	2.457 kr.	2.457 kr.	0 kr.
<b>Samlede omkostninger</b>		<b>48.463 kr.</b>	<b>53.458 kr.</b>	<b>53.458 kr.</b>	<b>15.565 kr.</b>
	Årskontrol	24.499 kr.	24.499 kr.	24.499 kr.	24.499 kr.
<b>Omkostninger total</b>		<b>72.962 kr.</b>	<b>77.957 kr.</b>	<b>77.957 kr.</b>	<b>40.064 kr.</b>

\*Inkluderer behandlingsrelateret patienttid brugt ved fremmøde på sygehus, samt transporttid.

‡ Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg. Det inkluderer patienternes omkostninger forbundet ved transport, som ikke er tid.

### 2.2.1 Usikkerheder

Datagrundlaget er en repræsentativ oversigt over et ressourceforløb for de inkluderede lægemidler. Der kan være forskelle i praksis mellem Rigshospitalet og nærsygehuse samt mellem regionerne, som ikke er belyst i dataindsamlingen. Især intravenøs behandling i de andre regioner forventes at være forbundet med varierende omkostninger.

Vedligeholdelsesbehandling med enzymerstatningsterapier er beregnet udelukkende på baggrund af hospitalsbehandling. Der er ikke antaget forskel i ressourcer der anvendes på hospitalsbehandling og patienter i hjemmebehandling, idet denne patientkategori er en lille gruppe på 11 patienter. Der er en usikkerhed forbundet med dette, da omkostningerne ved hjemmebehandling kan være overestimeret. Denne usikkerhed er ens for alle enzymerstatningsterapier, da beregningerne for omkostningerne er ens.

Transportomkostninger inkluderer patientens rejse til og fra sygehuset for behandlinger og monitoreringsbesøg, hvilket kan variere afhængigt af bopæl og transportmidler. Der er betydelige usikkerheder knyttet til disse omkostninger på grund af faktorer som afstand til sygehus beregnet på Amgros salgspriser, brændstofomkostninger og individuelle transportbehov. Disse variabler kan påvirke de samlede behandlingsomkostninger og bør derfor tages i betragtning.

Der kan også være en usikkerhed forbundet med anvendelsen af DRG-takster, da de enkelte ydelser er takseret uafhængigt af hinanden. Dette skyldes, at årskontrollen strækker sig over flere dage. Usikkerheden ligger i vanskeligheden ved præcist at forudsige, hvornår og i hvilken rækkefølge undersøgelserne vil blive gennemført, hvilket kan resultere i en afvigende DRG-takst.

Disse usikkerheder vurderes at være fælles for alle inkluderede lægemidler, og de vil derfor ikke påvirke rækkefølgen af de samlede omkostninger for alle inkluderede lægemidler. Det er Medicinrådets vurdering, at den estimerede forskel er fælles for alle, og de behandlingsrelaterede omkostninger påvirkes ens på tværs af lægemidlerne.



## 3. Bilag

### 3.1 Klinisk sammenligningsgrundlag

I det kliniske sammenligningsgrundlag beskrives, hvilke lægemidler der er ligestillede under kategorien "anvend" og "overvej" og hvilke doser der sammenlignes.

i Tabel 3 nedenfor ses det kliniske sammenligningsgrundlag for patienter med Fabrys sygdom med targeterbar mutation.

**Tabel 3. Medicinrådets kliniske rækkefølge af lægemidler til patienter med Fabrys sygdom med targeterbar mutation**

	Lægemiddel	Administration og dosis
Anvend til 70 % af populationen*	Agalsidase beta	I.v. 1 mg/kg legemsvægt hver 2. uge
	Migalastat	P.o. 1 kapsel hver 2. dag på samme klokkeslæt og i fastende tilstand minimum 2 timer før og efter administration
	Pegunigalsidase alfa	I.v. 1 mg/kg legemsvægt hver 2. uge
Overvej	Agalsidase alfa	I.v. 0,2 mg/kg legemsvægt hver 2. uge
Anvend ikke rutinemæssigt		

Anvend ikke

\* Procentsatsen beskriver den andel af patientpopulationen, der som minimum bør opstarte behandling med det lægemiddel, der bliver førstevalg i rekommandationen.

I Tabel 4 nedenfor ses det kliniske sammenligningsgrundlag for patienter med Fabrys sygdom.

**Tabel 4. Medicinrådets kliniske rækkefølge af lægemidler til patienter med Fabrys sygdom**

	Lægemiddel	Administration og dosis
Anvend til 90 % af populationen*	Agalsidase beta	I.v. 1 mg/kg legemsvægt hver 2. uge
	Pegunigalsidase alfa	I.v. 1 mg/kg legemsvægt hver 2. uge
Overvej	Agalsidase alfa	I.v. 0,2 mg/kg legemsvægt hver 2. uge
Anvend ikke rutinemæssigt		

Anvend ikke

\* Procentsatsen beskriver den andel af patientpopulationen, der som minimum bør opstarte behandling med det lægemiddel, der bliver førstevalg i rekommandationen.



## 3.2 Ressourceforbrug og enhedsomkostninger

I tabel 5-9 præsenteres ressourceforbrug og enhedsomkostninger årskontrol. Derudover også for lægemidlerne agalsidase alfa, agalsidase beta, pegunigalsidase alfa og migalastat.

### 3.2.1 Årskontrol

**Tabel 5. Oversigt over ressourceforbrug og enhedsomkostninger for årskontrol på Rigshospitalet**

		Enhedsomkostning	Antal enheder	Total
<b>Arbejdstid</b>	Læge	17,84 kr.	80 min.	1.427 kr.
	Sygeplejerske	7,70 kr.	40 min.	308 kr.
	Bioanalytiker	7,06 kr.	120 min.	847 kr.
	Lægeseekretær	6,67 kr.	110 min.	734 kr.
<b>Patientomkostninger</b>	Patienttid*	3,02 kr.	3.298 min.	9.960 kr.
	Transportx	75,80 kr.	4 gange	303 kr.
	Transport#	1021,22 kr.	4 gange	4.085 kr.
<b>Parakliniske undersøgelser</b>	Blodprøver	337	1 gang	337 kr.
Undersøgelser (Baseret på DRG-takster)	GFR – klin fys	1.847 kr.	1 gang	1.847 kr.
	Holter monitorering	1.847 kr.	1 gang	1.847 kr.
	Udvidet kardiologisk undersøgelse	2.026 kr.	1 gang	2.026 kr.
<b>Andet</b>	Drift samtalerum	0,35 kr.	2.222 min.	778 kr.
<b>Totalomkostninger</b>				<b>24.499 kr.</b>

\*Inkluderer behandlingsrelateret patienttid brugt ved fremmøde på sygehus, samt transporttid.

x Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på hjemsygehus.

# Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på Rigshospitalet.



### 3.2.2 Agalsidase alfa (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling

Tabel 6. Oversigt over ressourceforbrug og enhedsomkostninger ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling.

		Enhedsomkostning	Antal enheder	Totalt vedligehold
Arbejdstid	Læge	17,84 kr.	-	-
	Sygeplejerske	7,70 kr.	1.950 min.	15.015 kr.
	Bioanalytiker	7,06 kr.	390 min.	2.753 kr.
Patientomkostninger	Patienttid*	3,02 kr.	8.060 min.	24.341 kr.
	Transport $\alpha$	75,80 kr.	52 gange	3.942 kr.
	Transport $\beta$	1021,22 kr.	-	-
Andet	Drift samtalerum	0,35 kr.	1.430 min.	501 kr.
	Drift behandlingsstue	0,70 kr.	2.730 min.	1.911 kr.
	Årskontrol	24.499 kr.	1 gang	24.499 kr.
<b>Totalomkostninger</b>				<b>72.962 kr.</b>

\*Inkluderer behandlingsrelateret patienttid brugt ved fremmøde på sygehus, samt transporttid.

$\alpha$  Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på hjemsygehus.

$\beta$  Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på Rigshospitalet.

### 3.2.3 Agalsidase beta (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling

Tabel 7. Oversigt over ressourceforbrug og enhedsomkostninger ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling.

		Enhedsomkostning	Antal enheder	Totalt vedligehold
Arbejdstid	Læge	17,84 kr.	-	-
	Sygeplejerske	7,70 kr.	2.210 min.	17.017 kr.
	Bioanalytiker	7,06 kr.	390 min.	2.753 kr.
Patientomkostninger	Patienttid*	3,02 kr.	8.840 min.	26.697 kr.
	Transport $\alpha$	75,80 kr.	52 gange	3.942 kr.
	Transport $\beta$	1021,22 kr.	-	-
Andet	Drift samtalerum	0,35 kr.	1.690 min.	592 kr.



	Enheds- omkostning	Antal enheder	Totalt vedligehold
Drift behandlings-stue	0,70 kr.	3.510 min.	2.457 kr.
Årskontrol	24.499 kr.	1 gang	24.499 kr.
<b>Totalomkostninger</b>			<b>77.957 kr.</b>

\*Inkluderer behandlingsrelateret patienttid brugt ved fremmøde på sygehus, samt transporttid.

¤ Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på hjemmesygehus

# Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på Rigshospitalet

### 3.2.4 Pegunigalsidase alfa (i.v.) - vedligeholdelsesbehandling

Tabel 8. Oversigt over ressourceforbrug og enhedsomkostninger ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling

		Enheds-omkost- ning	Antal enheder	Totalt vedligehold
<b>Arbejdstid</b>	Læge	17,84 kr.	-	-
	Sygeplejerske	7,70 kr.	2.210 min.	17.071 kr.
	Bioanalytiker	7,06 kr.	390 min.	2.753 kr.
<b>Patient- omkostninger</b>	Patienttid*	3,02 kr.	8.840 min.	26.697 kr.
	Transport¤	75,80 kr.	52 gange	3.942 kr.
	Transport#	1021,22 kr.	-	-
<b>Andet</b>	Drift samtalerum	0,35 kr.	1.690 min.	592 kr.
	Drift behandlings-stue	0,70 kr.	3.510 min.	2.457 kr.
	Årskontrol	24.499 kr.	1 gang	24.499 kr.
<b>Totalomkostninger</b>			<b>77.957 kr.</b>	

\*Inkluderer behandlingsrelateret patienttid brugt ved fremmøde på sygehus, samt transporttid.

¤ Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på hjemmesygehus.

# Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på Rigshospitalet.



### 3.2.5 Migalastat (p.o.) – vedligeholdelsesbehandling

**Tabel 9. Oversigt over ressourceforbrug og enhedsomkostninger ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling**

		Enheds- omkostning	Antal enheder	Totalt vedligehold
<b>Arbejdstid</b>	Læge	17,84 kr.	15 min.	268 kr.
	Sygeplejerske	7,70 kr.	220 min.	1.694 kr.
	Bioanalytiker	7,06 kr.	15 min.	847 kr.
<b>Patient- omkostninger</b>	Patienttid*	3,02 kr.	1.688 min.	5.098 kr.
	Transport#	1021,22 kr.	4 gange	4.085 kr.
<b>Parakliniske undersøgelser</b>	Blodprøver		2 gange	3.456 kr.
<b>Andet</b>	Drift samtalerum	0,35 kr.	335 min.	117 kr.
	Årskontrol	24.499 kr.	1 gang	24.499 kr.
	Baselinekontrol	59.201 kr.	-	-
<b>Totalomkostninger</b>				<b>40.064 kr.</b>

\*Inkluderer behandlingsrelateret patienttid brugt ved fremmøde på sygehus, samt transporttid.

# Inkluderer det gennemsnitlige antal gange, patienterne møder op på hospitalet for at modtage behandling og monitoreringsbesøg på Rigshospitalet.

## 3.3 Forløbsbeskrivelse over ressourceforbrug i klinikken

I tabel 10-13 præsenteres en repræsentativ forløbsbeskrivelse for årskontrollen og for hvert af lægemidlerne i behandling for Fabrys sygdom.

### 3.3.1 Årskontrol

**Tabel 10. Oversigt over ressourceforbrug i klinikken ved årskontrol for patienter i vedligeholdelsesbehandling**

	Tid	Kommentarer	Antal gange
Tidsbestilling og koordinering	90 min.	Sekretær booker til årskontrol.	1 gang
Lægesamtale	40 min.	Svar på undersøgelser og vurdering af behandling.	1 gang
Samtale med sygeplejerske	40 min.	Blodtryk, puls, spørgeskemaer vedrørende symptomer	1 gang
Administrativ tid tre måneder efter	20 min.	Sekretær til opsamling af undersøgelsesprogram	1 gang



	Tid	Kommentarer	Antal gange
Blodprøver	120 min.	Tages af bioanalytiker på Rigshospitalet et par uger før årskontrol, derudover tager det tid at sende og forberede specielle blodprøver til USA	1 gang
Morgenurin	10 min.	Opsamles af patient dagen før kontrol og på dagen for kontrol	1 gang
Holter-monitorering	DRG-takst		1 gang
Udvidet kardiologisk hjerteundersøgelse (ekko)	DRG-takst		1 gang
Samtale med hjertelæge	40 min.	Svar på undersøgelser og vurdering af behandling	1 gang
Nyrefunktion eGFR	DRG-takst		1 gang
mGFR – klinisk fysiologisk	DRG-takst		1 gang

Blodprøver: Natirum, kalium, Kreatinin, karbamid, trombocytter, leukocytter, glukose, kolesterol, hæmoglobin, Hæmoglobin A1c, albumin, basisk fosfatase, bilirubiner, amylase, ALAT og ASAT.

### 3.3.2 Agalsidase alfa (i.v.) - vedligeholdelsesbehandling

**Tabel 11. Forløbsbeskrivelse over ressourceforbrug ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling.**

	Tid	Kommentarer	Antal gange
Telefonkonsultation	5 min.	Patienten ringer til afdelingen og varsler sin ankomst. Sygeplejersken tager medicinen ud af køleskabet, da den skal tempereres til stuetemperatur i en halv time før brug.	26 gange
PVK-anlæggelse	15 min.	Anlægges af bioanalytiker på modsatte afsnit	26 gange
Monitorering og evt. præmedicin	15 min.	Der måles blodtryk, puls og saturation, ved start og slut af infusionen	26 gange
Blanding af medicin	10 min.	Når patienten har fået anlagt drop, blandes medicinen på afdelingen af en sygeplejerske. Medicinen er i form af frysetørret pulver, som først skal stå og gennemvædes, hvorefter det blandes videre i 100/250 ml NaCl. Medicinblandingen udføres meget forsigtigt og afrundes op til nærmeste hele glas.	26 gange
Infusionstid	60 min.	Køres efter protokol, minimumsindløbstid er 40 min, nogle patienter får det med længere indløb for at undgå infusionsrelaterede bivirkninger.	26 gange
Overvågning af pt	10 min.	Sygeplejerske tilser patienten under infusion, men går til og fra. Infusionen foregår i liggestol.	26 gange





	Tid	Kommentarer	Antal gange
Afslutning af infusion.	15 min.	Skylning med 50 ml NaCl og seponering af PVK	26 gange
Dokumentation og koordinering	20 min.	Sygeplejerske dokumenterer og laver tidsbestilling til næste infusion i samarbejde med patienten.	26 gange
Årskontrol	90 min.	Booking og koordinering udføres af sekretær (dette kun ved vedligeholdelsesbehandling)	1 gang

### 3.3.3 Agalsidase beta (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling

**Tabel 12. Forløbsbeskrivelse over ressourceforbrug ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling.**

	Tid	Kommentarer	Antal gange
Telefonkonsultation	5 min.	Patienten ringer til afdelingen og varsler sin ankomst. Sygeplejersken tager medicinen ud af køleskabet, da den skal tempereres til stuetemperatur i en halv time før brug.	26 gange
PVK-anlæggelse	15 min.	Anlægges af bioanalytiker på modsatte afsnit.	26 gange
Monitorering og evt. præmedicin	15 min.	Der måles blodtryk, puls og saturation, ved start og slut af infusionen.	26 gange
Blanding af medicin	20 min.	Når patienten har fået anlagt drop, blandes medicinen på afdelingen af en sygeplejerske. Medicinen er i form af frysetørret pulver, som først skal stå og gennemvædes, hvorefter det blandes videre i 100/250 ml NaCl. Medicinblandingen udføres meget forsigtigt og afrundes op til nærmeste hele glas.	26 gange
Infusionstid	90 min.	Køres efter protokol, minimumsindløbstid er 90 min, nogle patienter får det med længere indløb for at undgå infusionsrelaterede bivirkninger.	26 gange
Overvågning af pt	20 min.	Sygeplejerske tilser patienten under infusion, men går til og fra. Infusionen foregår i liggestol.	26 gange
Afslutning af infusion	15 min.	Skylning med 50 ml NaCl og seponering af PVK	26 gange
Dokumentation og koordinering	20 min.	Sygeplejerske dokumenterer og laver tidsbestilling til næste infusion i samarbejde med patienten.	26 gange
Årskontrol	90 min.	Booking og koordinering udføres af sekretær (dette kun ved vedligeholdelsesbehandling)	1 gang



### 3.3.4 Pegunigalsidase alfa (i.v.) – vedligeholdelsesbehandling

**Tabel 13. Forløbsbeskrivelse over ressourceforbrug ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling.**

	Tid	Kommentarer	Antal gange
Telefonkonsultation	5 min.	Patienten ringer til afdelingen og varsler sin ankomst. Sygeplejersken tager medicinen ud af køleskabet, da den skal tempereres til stuetemperatur i en halv time før brug.	26 gange
PVK-anlæggelse	15 min.	Anlægges af bioanalytiker på modsatte afsnit	26 gange
Monitorering og evt. præmedicin	15 min.	Der måles blodtryk, puls og saturation, ved start og slut af infusionen.	26 gange
Blanding af medicin	20 min.	Når patienten har fået anlagt drop, blandes medicinen på afdelingen af en sygeplejerske. Medicinen er opblandet i en væske, og da det er en stor mængde, tager det tid at blande. Medicinblandingen udføres meget forsigtigt og afrundes op til nærmeste hele glas.	26 gange
Infusionstid – indledende infusion	180 min.	Køres efter protokol	1 gang
overvågning af patient – indledende infusion	30 min.	Sygeplejerske tilser patienten under infusionen, men går til og fra. Infusionen foregår i liggestol.	1 gang
Infusionstid – vedligeholdelses infusion	90 min.	Køres efter protokol	25 gange
Overvågning af pt – vedligeholdelses infusion	10 min.	Sygeplejerske tilser patienten under infusion, men går til og fra. Infusionen foregår i liggestol.	25 gange
Afslutning af infusion	15 min.	Skylning med 50 ml NaCl og seponering af PVK	26 gange
Dokumentation og koordinering	20 min.	Sygeplejerske dokumenterer og laver tidsbestilling til næste infusion i samarbejde med patienten.	26 gange
Årskontrol	90 min.	Booking og koordinering udføres af sekretær (dette kun ved vedligeholdelsesbehandling)	1 gang



### 3.3.5 Migalastat (p.o.) – vedligeholdelsesbehandling

**Tabel 14. Forløbsbeskrivelse over ressourceforbrug ved vedligeholdelsesbehandling over 12 måneders behandling.**

	Tid	Kommentarer	Antal gange
Koordinering af patient for at tage pillen hjemme	3 min.	Kapsel skal tages hver 2. dag på samme klokkeslæt i fastende tilstand minimum 2 timer før og efter administration. (Dette kun ved vedligeholdelsesbehandling)	182 gange
Morgenurin fra patient	10 min.	Morgenurin udføres dagen før og på dagen for kontrol.	4 gange
Blodprøver	120 min.	Tages af bioanalytiker, der tages kun migalastat specifikke blod- og urin prøver i forbindelse med medicinudlevering. Tages af et par uger før årskontrol, derudover tager det tid at sende og forberede specielle blodprøver til USA	2 gange
Medicinudlevering	30 min.	Medicinudlevering foregår på Rigshospitalet, svar på blodprøver, morgenurin og samtale om korrekt indtagelse – dette gøres ved hver medicinudlevering for at sikre compliance, hver tredje måned	4 gange
Dokumentation	25 min.	Sygeplejerske dokumenterer og booker tid til næste medicinudlevering i samarbejde med patient.	4 gange
Årskontrol	90 min.	Booking og koordinering udføres af sekretær (dette kun ved vedligeholdelsesbehandling)	1 gang

Blodprøver: alpha-galactosidase. Prøver til USA: Plasma lyso-Gb3, Plasma Gb3 og Urin Gb3.



## 4. Versionslog

### Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	18. december 2024	Godkendt af Medicinrådet.

**Medicinrådets sekretariat**

Medicinrådet Dampfærgevej 21-23, 3. sal  
2100 København Ø

+ 45 70 10 36 00  
medicinraadet@medicinraadet.dk

[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)