

Referat

Mødetitel 98. rådsmøde i Medicinrådet

Dato 27. november 2024

Sted Danske Regioner

Deltagere

- Jørgen Schøler Kristensen (forperson)
- Birgitte Klindt Poulsen (næstforperson)
- Kim Brixen
- Kirsten Wisborg (Gik kl. 14.20)
- Jens Friis-Bak
- Peder Gunner Fabricius
- Søren Pihlkjær Hjortshøj
- Tonny Studsgaard Petersen
- Zandra Nymand Ennis
- Christine Dinsen-Andersen
- Anne Lene Riis
- Ann-Britt Eg Hansen (Kom kl. 10.15)
- Anni Ravnsbæk Jensen
- Dorte Gyrd-Hansen
- Jan Sørensen
- Morten Freil
- Lisbeth Høeg-Jensen

Observatører

- Ida Sofie Jensen
- Hanne Lomholt Larsen
- Afventer udpegning fra Sundhedsstyrelsen

Afbud

- Dorthe Bartels (observatør)

Fra sekretariatet

Søren Gaard, Laura Toftegaard Pedersen, Karen Kleberg Hansen, Annemette Anker Nielsen, Linda Aagaard Thomsen, Jane Skov, Jonas Stidsborg, Pernille Winther Johansen, Ehm Andersson Galijatovic, Marie Louise Sjølie, Karen Agerbæk Jørgensen, Rikke Krogsgård og Louise Brøker (referent).

Forperson Jørgen Schøler Kristensen bød velkommen til det 98. rådsmøde i Medicinrådet.

Forpersonen orienterede om sin deltagelse i Kræftdag 2024 den 26. november. Næstforpersonen fortalte om sin deltagelse på ISPOR 2024 i uge 47. Dernæst fortalte flere rådsmedlemmer samt repræsentanter fra sekretariatet om deres deltagelse i et møde med repræsentanter fra de andre nordiske beslutningsfunktioner i Stockholm den 24. november. Forpersonen orienterede desuden om, at der har været afholdt et møde med Lif om transparens i Medicinrådets anbefalinger.

Afslutningsvist orienterede forpersonen om, at Dorte Gyrd-Hansen er blevet genudpeget for endnu en toårig periode, samt at følgende medlemmer af Rådets udpegningsperiode udløber ultimo 2024:

- Søren Pihlkjær Hjortshøj, Region Nordjylland
- Zandra Nymann Ennis, Regionerne i fællesskab
- Lisbeth Høeg-Jensen, Danske Patienter.

Punkt 1

Godkendelse af dagsorden

Rådet godkendte dagsordenen.

Punkt 2

Godkendelse af referat

Intet til godkendelse.

Punkt 3

Drøftelse: Bæredygtig medicin - Mulige tilgange for Medicinrådet

Sekretariatet er i gang med at afdække hvilke muligheder, der er, for at Medicinrådets arbejde i højere grad kan bidrage til mere bæredygtighed inden for lægemiddelområdet. På mødet gennemgik sekretariatet udfordringerne på området, samt hvilke tiltag Medicinrådet kan arbejde videre med i denne retning.

Rådet drøftede en række forskellige mulige tiltag, som Rådet mener, at sekretariatet kan undersøge muligheden for at arbejde videre med. Rådet udtrykte ønske om at blive inddraget i det videre arbejde, herunder en løbende afrapportering på tiltag, som sættes i gang.

Rådet godkendte, at en rapport udarbejdet i forbindelse med sekretariatets afdækning af området, bliver offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.

Punkt 4

Anbefaling: Ripretinib (Qinlock) - Gastrointestinal Stromal Tumor (GIST)

Fagudvalgsforperson Lars Henrik Jensen og fagudvalgsmedlem Anders Krarup-Hansen præsenterede det kliniske data vedrørende ripretinib til behandling af avanceret gastrointestinal stromal tumor, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser og udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsforpersonen og fagudvalgsmedlemmet og spurgte særligt ind til det store antal patienter, der i studiet krydsede over til aktiv behandling fra placebo og betydningen af overkrydsning for den estimerede overlevelse. Rådet var ikke i tvivl om, at patienter med GIST kan have god effekt af lægemidlet. Lægemidlet er dog prissat så urimeligt højt, at Rådet alligevel valgte ikke at anbefale lægemidlet som standardbehandling.

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet **anbefaler ikke** ripretinib til patienter med fremskreden kræft i mavetarmsystemet (GIST), som har modtaget behandling med mindst tre forskellige lægemidler af typen kinasehæmmere.

Ripretinib kan udskyde tiden til yderligere sygdomsforværring, hvilket også forlænger patienternes overlevelse sammenlignet med ingen behandling.

Ripretinib er formentlig forbundet med mildere bivirkninger end de behandlinger, som de fleste patienter i dag bliver tilbudt i dansk klinisk praksis i 4. eller senere linjer.

Prisen for ripretinib er dog så høj, at Medicinrådet vurderer, at omkostningerne ikke er rimelige ift. effekten. Medicinrådet opfordrer derfor virksomheden til at vende tilbage med en markant lavere pris.

Punkt 5

Anbefaling (revurdering): Ciltacabtagene autoleucel (Carvykti) – Knoglemarvskræft (myelomatose)

Fagudvalgsmedlem Charlotte Toft Hansen præsenterede det kliniske data vedrørende ciltacabtagene autoleucel til behandling af patienter med knoglemarvskræft, som har fået mindst tre tidligere terapier, og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser og udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsmedlemmet, sekretariatet og repræsentanter fra Amgros og spurgte særligt til usikkerheden i datagrundlaget og status på vurderingen i anden linje. Rådet drøftede også prisen på behandlingen, behovet for at opsamle data og forventet kapacitet.

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet **anbefaler** ciltacabtagene autoleucel (cilta-cel) til voksne patienter med recidiverende og refraktær knoglemarvskræft (myelomatose), som har fået mindst tre tidligere terapier, herunder et immunmodulerende lægemiddel, en proteasomhæmmer samt et anti-CD38-antistof, og som har haft sygdomsprogression under seneste behandling. Anbefalingen gælder patienter i god almentilstand (ECOG 0-1, alternativt Karnofsky 80-100).

Medicinrådet vurderer, at behandling med cilta-cel udskyder tiden til sygdomsprogression og øger patienternes overlevelse sammenlignet med nuværende standardbehandling, som er teclistamab. Det er meget usikkert, hvor stor effekten er, da begge behandlinger kun er undersøgt i enkeltarmede ukontrollerede studier, dvs. uden direkte sammenligning med andre behandlingsmuligheder.

Der er risiko for alvorlige bivirkninger ved begge behandlinger, omend typen af bivirkninger er forskellig. Behandling med cilta-cel er dyrere end nuværende standardbehandling, og grundet risiko for alvorlige bivirkninger og usikkerhed om effekten forudsætter

Medicinrådets anbefaling, at der i klinikken systematisk indsamles effekt- og bivirkningsdata for patienter, som behandles med cilta-cel.

Medicinrådet vil efter ét og to år på baggrund af indleveret data tage stilling til, om anbefalingen fortsat skal gælde.

Punkt 6

Orientering: Iværksatte tiltag for at håndtere stor sagsmængde

Sekretariatet orienterede om de tiltag, der allerede er sat i værk for at håndtere det stigende antal ansøgninger samt yderligere forslag til håndtering af det store antal ansøgninger og åbnede herefter for en drøftelse heraf.

Forslagene havde særligt fokus på at optimere de processer, hvor der ikke indgår en sundhedsøkonomisk analyse og processerne i de fagudvalg, hvor der aktuelt er mange lægemiddelvurderinger på vej.

Rådet drøftede forslagene med sekretariatet og spurgte særligt til belastningen og behovet for flere fagudvalgsmedlemmer i de fagudvalg, hvor der er mange vurderinger.

Punkt 7

Anbefaling: Tabelecleucel (Ebvallo) – Epstein-Barr-virus-positiv posttransplantationslymfoproliferativ sygdom (EBV + PTLD)

Fagudvalgsformand Ahmed Ludvigsen Al-Mashhadi præsenterede det kliniske data vedrørende tabelecleucel til behandling af Epstein-Barr-virus-positiv posttransplantationslymfoproliferativ sygdom (EBV + PTLD), og sekretariatet præsenterede herefter de sundhedsøkonomiske analyser og udkast til anbefaling.

Rådet drøftede udkastet med fagudvalgsformanden og stillede særligt spørgsmål til det forventede antal langtidsoverlevende. Rådet lagde vægt på, at virksamheden ligger inde med nyere data, da de ift. EMAs godkendelse under *exceptional circumstances* årligt skal indsende data til EMA for at bevare deres markedsføringstilladelse. Rådet opfordrer derfor virksomheden til at fremsende de nyeste opfølgingsdata.

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet **anbefaler ikke** tabelecleucel til behandling af Epstein-Barr-virus-positiv posttransplantations-lymfoproliferativ sygdom (EBV+ PTLD). Det er en alvorlig, sjælden kræftform med høj dødelighed, der kan opstå efter solid organtransplantation eller stamcelletransplantation.

Det er usikkert, hvor meget behandling med tabelecleucel øger overlevelsen hos patienter med EBV+ PTLD sammenlignet med den behandling, patienterne tilbydes i dag (kemoterapi + rituximab eller rituximab alene). Det skyldes, at datagrundlaget er meget spinkelt, opfølgningstiden er kort, og data for to patientgrupper med meget forskellig prognose er slået sammen. Samtidig er tabelecleucel en dyr behandling.

Medicinrådet opfordrer derfor ansøger til at fremsende de nyeste opfølgingsdata, som virksomheden har forpligtet sig til at indsende til Det Europæiske Lægemiddelagentur som betingelse for fortsat markedsføringstilladelse.

Punkt 8

Opfølgning: Bridging-terapi ifm. CAR-T-behandling

På rådsmødet den 23. oktober blev det besluttet, at Rådet skulle fortsætte drøftelsen af anvendelse af bridging-terapi før leukaferease ifm. CAR-t behandling med fagudvalgsformanden Ahmed Ludvigsen Al-Mashhadi. Drøftelsen fortsatte på indeværende rådsmøde, hvor der særligt blev drøftet hele bridging-konceptet.

Efter nogle opklarende spørgsmål godkendte Rådet tilføjelserne i anbefalingsteksterne for axicabtagene ciloleucel i anden og tredje linje.

Anbefalingsteksterne bliver opdateret på Medicinrådets hjemmeside.

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet **anbefaler** axicabtagene ciloleucel (axi-cel) til patienter med kræfttypen diffust storcellet B-celle lymfom (DLBCL) og high-grade B-cellelymfom (HGBL), der recidiverer inden for 12 måneder efter gennemførsel af eller er refraktær til førstelinje kemo-immunterapi.

Anbefalingen gælder kun patienter, som er i god almen tilstand (performance status 0 og 1).

Medicinrådet vurderer, at behandling med axi-cel udskyder tiden til sygdomsprogression, og øger patienternes overlevelse sammenlignet med et stamcelletransplantationsforløb, som er den nuværende standardbehandling. Den samlede bivirkningsbyrde er sammenlignelig, men typerne af bivirkninger for axi-cel og den nuværende standardbehandling er forskellige, dog med væsentlig hæmatologisk toksicitet til fælles.

Behandling med axi-cel er dyrere end den nuværende standardbehandling. Samlet set vurderer Medicinrådet dog, at omkostningerne til behandlingen er rimelige i forhold til effekten.

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 axi-cel. Medicinrådet understreger vigtigheden af, at tid fra leukaferese til infusion af axi-cel er på niveau med tiden observeret i ZUMA-7.

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. Opsamling af sikkerhedsdata skal inkludere forekomst og varighed af alvorlige bivirkninger og hypogammaglobulinæmi. Medicinrådet vil revurdere anbefalingen efter to års dataopsamling.

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet **anbefaler** axicabtagene ciloleucel til behandling af voksne patienter med kræfttyperne recidiveret eller refraktært (R/R) DLBCL og primært mediastinalt storcellet B-cellelymfom (PMBCL) efter to eller flere andre systemiske behandlinger.

Anbefalingen gælder kun patienter, som er i god almen tilstand (performance status 0 og 1).

Medicinrådet vurderer, at behandling med axicabtagene ciloleucel øger overlevelsen for patienter med DLBCL sammenlignet med den nuværende standardbehandling med kemoterapi i kombination med rituximab. Det er dog usikkert, hvor stor overlevelsesgevinsten af axicabtagene ciloleucel er i forhold til den nuværende standardbehandling.

Axicabtagene ciloleucel er væsentligt dyrere end den nuværende standardbehandling. Medicinrådet vurderer dog samlet set, at omkostningerne til axicabtagene ciloleucel er rimelige i forhold til effekten af behandlingen, selv når usikkerhederne om effekten tages i betragtning.

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 axi-cel. Medicinrådet understreger vigtigheden af, at tid fra leukaferese til infusion af axi-cel er på niveau med tiden observeret i ZUMA-1.

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. Opsamling af sikkerhedsdata skal inkludere forekomst og varighed af alvorlige bivirkninger og hypogammaglobulinæmi. Medicinrådet vil revurdere anbefalingen efter to års dataopsamling.

Punkt 9

Anbefaling: Inebilizumab (Uplinza) – Neuromyelitis optica spektrumsygdom

Fagudvalgsnæstforperson Jeppe Romme Christensen præsenterede det kliniske data vedrørende inebilizumab til behandling af neuromyelitis optica spektrum sygdom (NMOSD), og sekretariatet præsenterede herefter den sundhedsøkonomiske analyse og udkast til anbefaling.

Efter nogle få opklarende spørgsmål godkendte Rådet følgende:

Medicinrådet anbefaler

Medicinrådet **anbefaler ikke** inebilizumab til behandling af voksne patienter med nervesygdommen neuromyelitis optica spektrum (NMOSD), som er anti-aquaporin-4 immunoglobulin G-seropositive.

Medicinrådet kan på det foreliggende datagrundlag ikke vurdere, om inebilizumab samlet set har bedre eller dårligere effekt og sikkerhedsprofil end den nuværende standardbehandling med rituximab. Begge behandlinger kan reducere risikoen for angreb. De hyppigste bivirkninger ved behandling med inebilizumab og rituximab er infusionsrelaterede bivirkninger og infektioner.

Inebilizumab er væsentligt dyrere end den nuværende behandling. Medicinrådet vurderer, at de samlede omkostninger er for høje i forhold til den store usikkerhed om lægemidlets effekt sammenlignet med den nuværende standardbehandling.

Punkt 10

Direktørens meddelelser

Direktøren oplyste, at han den 14. november 2024 deltog i et møde på Christiansborg sammen med bl.a. Karin Friis Bach og Adam Wolf. Mødet blev arrangeret af en gruppe virksomheder, som kalder sig Medicinrådskoalitionen. Dernæst informerede direktøren om, at sekretariatet har nedsat en mindre arbejdsgruppe, der kigger på, hvordan sekretariatet kan benytte AI i arbejdet. Afslutningsvist orienterede direktøren om, at der vil blive afholdt en mindre reception ifm. det 100. rådsmøde samt forpersonens sidste rådsmøde den 29. januar 2025. Der vil snart blive udsendt invitationer.

Punkt 11

Skriftlig orientering

Intet til godkendelse.

Rådet havde modtaget følgende i skriftlig orientering:

- Faste oversigter
- Pressehenvendelser

Punkt 12

Eventuelt

Årets sidste rådsmøde er onsdag den 18. december 2024.