

Oversigt over anbefalinger for nusinersen (Spinraza) pr. 23. februar 2018

Danmark	Sverige	Norge
<p>Anbefales ikke som mulig standardbehandling</p> <p>Protokolleret ibrugtagning: SMA type I</p> <ul style="list-style-type: none"> • Symptomdebut før 6 mdr. • Er ikke i permanent respirationsbehandling <p>Præsymptomatiske spædbørn</p> <ul style="list-style-type: none"> • Dokumenteret 5q SMA gendefekt og 2-3 SMN2-kopier. 	<p>Anbefales såfremt særlige kriterier er opfyldt</p> <p>Ibrugtagning kan overvejes til patienter med: SMA type I</p> <ul style="list-style-type: none"> • Er ikke i permanent respirationsbehandling <p>SMA type II og IIIa (debut før 3 år)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Er under 18 år • Er ikke i permanent respirationsbehandling. 	<p>Anbefales under særlige forudsætninger</p> <p>Der åbnes ikke for generel ibrugtagning. Hver patient skal vurderes særskilt af en national faggruppe.</p> <p>SMA type I</p> <ul style="list-style-type: none"> • Er ikke i permanent respirationsbehandling <p>SMA type II og IIIa (debut før 3 år)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Er under 18 år • Er ikke i permanent respirationsbehandling.
<p>Revurdering*</p> <ul style="list-style-type: none"> • Hver 6. mdr. (efter opstartsregimet er gennemført) <p>Kriterier for ophør*</p> <ul style="list-style-type: none"> • Progression af symptomer uden tegn på stabilisering (målt med navngivne funktionsskaler anvendt iht. alder og funktionsniveau) • Behandlingen vurderes som udsigtsløs • Beslutning om ophør konfereres mellem de tre kliniske centre <p>Opfølgingsdata</p> <ul style="list-style-type: none"> • Klinikerne vil registrere effekten i en national kvalitetsdatabase. 	<p>Revurdering</p> <ul style="list-style-type: none"> • Hver 6. mdr. (efter opstartsregimet er gennemført) <p>Kriterier for ophør</p> <ul style="list-style-type: none"> • Permanent respirationsbehandling • Type II og IIIa: Forværring i grovmotorik (målt med HFMSE) • Beslutning om ophør konfereres i en national klinisk ekspertgruppe <p>Opfølgingsdata</p> <ul style="list-style-type: none"> • Patienten skal følges i et nationalt kvalitetsregister. 	<p>Revurdering</p> <ul style="list-style-type: none"> • Hver 4. mdr. (efter 1. år) <p>Kriterier for ophør</p> <ul style="list-style-type: none"> • Permanent respirationsbehandling • Forværring af funktion (målt med navngivne skalaer), respirations- eller ernæringsstatus • Beslutning om den enkelte patient opfylder et stopkriterium træffes af en national faggruppe <p>Opfølgingsdata</p> <ul style="list-style-type: none"> • Der etableres et medicinsk kvalitetsregister • Evaluering efter 6 mdr. og ny forhandling baseret på data fra kvalitetsregistret.

*Ikke fastlagt af Medicinrådet. National klinisk konsensus om ovenstående kriterier.

For uddybende information og detaljer se:

Danmark:

- <http://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger/anbefalinger-nye-laegemidler-og-nye-indikationer>

Sverige:

- [http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Nusinersen-\(Spinraza\)-171220.pdf](http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Nusinersen-(Spinraza)-171220.pdf)

Norge:

- <https://nyemetoder.no/nyheter/sier-ja-til-spinraza>
- <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Kriterier%20for%20behandling%20med%20nusinersen%20Spinraza%20for%20barn%20-18%20%C3%A5r.pdf>