

Medicinrådets anbefaling vedrørende onasemnogene abeparvovec til behandling af spinal muskeltrofi

MEDICINRÅDET ANBEFALER

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

Onasemnogene abeparvovec 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 abeparvovec 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 abeparvovec (dvs. tillægger nusinersen efter onasemnogene abeparvovec eller fortsætter med nusinersen efter onasemnogene abeparvovec).

VÆRDI FOR PATIENTERNE

Medicinrådet vurderer, at onasemnogene abeparvovec og nusinersen er ligeværdige behandlingsalternativer, selvom værdien af onasemnogene abeparvovec ikke kan kategoriseres efter Medicinrådets metoder. Det betyder, at onasemnogene abeparvovec ikke vurderes at være bedre eller dårligere end nusinersen, som er den behandling, patienterne bliver tilbudt i dag.

Begge lægemidler kan forbedre patientens funktionsniveau. Især når behandlingen gives, inden patienten har symptomer, eller meget tidligt i sygdomsforløbet, men ingen af dem helbreder sygdommen. Der er ikke dokumentation for, at patienterne opnår mere effekt ved at kombinere de to behandlinger – altså tillægge nusinersen efter onasemnogene abeparvovec eller fortsætte med nusinersen efter onasemnogene abeparvovec.

Medicinrådets vurdering omfatter spædbørn med klinisk SMA type 1, som ikke er i permanent ventilationsbehandling og starter behandling inden seks månedersalderen samt præsymptomatiske spædbørn med mindst to SMN2-



kopier. Der er endnu ingen data for ældre børn eller patienter med SMA type 2 og 3.

Der er fordele og ulemper ved begge behandlinger. Det er en fordel, at onasemnogene abeparvovec kun skal gives én gang. Til gengæld er det ikke muligt at stoppe behandlingen igen, hvis der senere skulle opstå bivirkninger. Nusinersen er potentielt en livslang behandling, der hver 4. måned bliver indsprøjtet i det hulrum, som omgiver rygmarven, hvilket i sig selv kan medføre gener og bivirkninger for patienten.

Ved behandling med onasemnogene abeparvovec er der set sjældne, men alvorlige og livstruende bivirkninger i form af trombotisk mikroangiopati.

Medicinrådet lægger i vurderingen vægt på, at der er stor usikkerhed om langtidseffekt og langtidsbivirkninger. Vurderingen er baseret på et yderst begrænset datagrundlag. Medicinrådet opfordrer derfor firmaet til at levere nye substantielle data for både effekt og bivirkninger.

OMKOSTNINGER FOR SUNDHEDSVÆSENET

Omkostningerne per patient for onasemnogene abeparvovec og nusinersen vil være ens ved omtrent ni år.

Det forudsætter dog, at patienterne ikke på et senere tidspunkt modtager anden lægemiddelbehandling mod spinal muskeltrofi.

Budgetkonsekvenserne er fortrolige, da beregningerne bygger på patientantal under fem patienter.

Rådets beslutning er truffet på baggrund af priser på lægemidlerne, som Amgros har forhandlet med lægemiddelfirmaerne.

De forhandlede priser er fortrolige efter firmaernes ønske, og derfor må Medicinrådet ikke offentliggøre hverken de reelle priser eller omkostninger.

ALVORLIGHED

Sygdommens alvorlighed er altid medtaget i Medicinrådets vurdering af et lægemiddels værdi. Det sker i forbindelse med valget af effektmål og den vægt, Medicinrådet tillægger effektestimaterne, hvilket er forskelligt alt efter typen af effektmål. Derudover har Medicinrådet formuleret et alvorlighedsprincip, som Medicinrådet kan inddrage i helt særlige situationer. Dette har ikke været nødvendigt i denne sag, hvor patienterne i forvejen bliver tilbudt en effektiv behandling.

ANBEFALINGEN BETYDER

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til at bruge onasemnogene abeparvovec til spædbørn med spinal muskeltrofi, men ikke nødvendigvis som førstevalg til alle patienter.



Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.1	23. august 2023	Medicinrådet fastholder anbefalingen på baggrund af 2 års opfølgingsdata. Sætningerne om opfølgingsdata er derfor slettet fra anbefalingsteksten.
1.0	26. maj 2021	Godkendt af Medicinrådet.

Medicinrådet

Dampfærgevej 21-23, 3. sal
2100 København Ø

+45 70 10 36 00
medicinraadet@medicinraadet.dk
www.medicinraadet.dk

Om Medicinrådets anbefaling

Medicinrådets anbefaling er et klinisk og økonomisk baseret råd til regionerne til brug for deres beslutning om at anvende et givet lægemiddel. Anbefalingen bygger på en vurdering af, om omkostningerne vedrørende brug af lægemidlet er rimelige, når man sammenligner dem med lægemidlets værdi for patienterne. I vurderingen af værdien for patienterne indgår både lægemidlets gavnlige effekter og bivirkninger. I nogle tilfælde spiller sygdommens alvorlighed en særlig rolle i afvejningen af forholdet mellem omkostninger og værdi.

© **Medicinrådet, 2023**. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk. Format: pdf. Udgivet af Medicinrådet, den 24. august 2023